NEJM: Un equipo español presenta el primer fármaco para mejorar el síndrome del corazón rígido

21/05/2023

El equipo del Dr. Pablo García-Pavía, investigador del CNIC y del Hospital Puerta de Hierro, lidera el primer estudio con una medicación para retirar la proteína amiloide del corazón

La amiloidosis cardiaca por transtiretina es una enfermedad progresiva en la que se produce el depósito de una sustancia (proteína amiloide) en el corazón. Dicho depósito provoca que las paredes del corazón sean más gruesas y rígidas y que los pacientes sufran retención de líquidos, fatiga y arritmias, por lo que a menudo recibe el nombre del síndrome del corazón rígido. **Cuando se acumula en el corazón produce insuficiencia cardíaca y, en última instancia, la muerte**. Se sabe que puede tener un origen genético o bien estar causado por la edad. Su pronóstico es malo, y la supervivencia media de los pacientes sin tratamiento es de sólo 3 años.

Pero los resultados de un estudio publicado en *The New England Journal of Medicine* (NEJM) pueden cambiar radicalmente el escenario para esta enfermedad. Simultáneamente a la publicación en esta prestigiosa revista médica, el Dr. Pablo Garcia-Pavía, Jefe de Cardiopatías Familiares del Hospital Universitario Puerta de Hierro e investigador del Centro Nacional de Investigaciones Cardiovasculares (CNIC) y del CIBER Cardiovascular (CIBERCV) ha presentado hoy, durante el **Congreso de Insuficiencia Cardiaca de la Sociedad Europea de Cardiología** que se celebrar en Praga, los resultados del primer ensayo clínico con un fármaco retirador de amiloide contra la amiloidosis cardiaca por Transtiretina.

El estudio supone un gran avance en una enfermedad en la que los tratamientos disponibles hasta ahora, a pesar de que impiden la acumulación de más proteína amiloide y retrasan la progresión de la enfermedad, no actúan contra el amiloide que ya está depositada en el corazón.

Las opciones de tratamiento actuales incluyen terapia estabilizadora de transtiretina y apoyo para controlar las complicaciones cardiovasculares, mientras que el trasplante de corazón es hoy en día la única terapia capaz de restaurar la función del corazón en esta enfermedad. **Tafamidis**, un estabilizador de transtiretina oral recientemente comercializado en España, es el único fármaco disponible dirigido específicamente para esta enfermedad y ha demostrado que mejora la supervivencia y reduce el número de hospitalizaciones; sin embargo, no produce mejoría de la enfermedad.

El pronóstico de la amiloidosis cardiaca por transtiretina es malo y la supervivencia media de los pacientes sin tratamiento es de sólo 3 años

Los resultados iniciales del estudio, en el que han participado 40 pacientes de Francia, Holanda, Alemania y España y que ha sido coordinado por el Dr. García-Pavía en el Hospital Puerta de Hierro, muestran que el fármaco es seguro y parece reducir la cantidad de amiloide depositado en el corazón.

Desarrollado por la empresa suiza Neurimmune, el medicamento es un anticuerpo con capacidad de unirse a la sustancia amiloide identificado a partir del análisis de las células memoria tipo B de personas sanas de edad muy avanzada.

En el estudio se empleó el anticuerpo para estimular el sistema defensivo de los pacientes y, así, lograr la eliminación del amiloide cardiaco.

En el ensayo que ahora se publica en *NEJM*, el anticuerpo se administró por vía intravenosa a dosis progresivamente mayores de forma mensual durante 12 meses.

“**Los pacientes que recibieron más dosis del fármaco aparentemente tuvieron una mayor reducción de los depósitos de amiloide en el corazón y mayor mejoría de diversos parámetros cardiacos**”, señala el Dr. García-Pavía.

Como conclusión, afirma el artículo, este estudio de prueba de concepto de fase I demuestra el perfil de seguridad de este fármaco en estos pacientes y respalda realizar más investigación clínica con este compuesto para que acabe llegando a los pacientes.

El Dr. García-Pavía es uno de los mayores expertos mundiales en esta enfermedad y es el líder del documento sobre diagnóstico y tratamiento de la amiloidosis cardiaca de la Sociedad Europea de Cardiología, las recomendaciones que se siguen a nivel mundial para el diagnóstico y tratamiento de esta enfermedad.

Su grupo en el Hospital Puerta de Hierro es uno de los de mayor prestigio en esta patología a nivel internacional y demostró hace años que esta enfermedad, que previamente se consideraba muy infrecuente, es una de las causas más frecuentes de insuficiencia cardiaca en personas mayores de 65 años.

- *Garcia-Pavia P, Aus dem Siepen F, Donal E, Lairez O, van der Meer P, Kristen AV, Mercuri MF, Michalon A, Frost RJA, Grimm J, Nitsch RM, Hock C, Kahr PC, Damy T. Phase 1 Trial of Antibody NI006 for Depletion of Cardiac Transthyretin Amyloid. N Engl J Med. 2023 May 20. doi: 10.1056/NEJMoa2303765*

URL de origen:https://www.cnic.es/es/noticias/nejm-un-equipo-espanol-presenta-primer-farmaco-para-mejorar-sindrome-corazon-rigido