Nature Medicine: Un estudio establece el papel de los nuevos tratamientos para la amiloidosis cardiaca por transtiretina

04/09/2026

La investigación demuestra el beneficio de un nuevo silenciador genético, para el tratamiento de la enfermedad

Un estudio internacional dirigido por el Dr. Pablo García-Pavía, líder del Grupo de Miocardiopatías Hereditarias del Centro Nacional de Investigaciones Cardiovasculares Carlos III (CNIC), jefe de sección de Cardiopatías Familiares del Hospital Público Universitario Puerta de Hierro Majadahonda y jefe de grupo del CIBERCV, demuestra los beneficios clínicos del tratamiento con un silenciador de **transtiretina** en los pacientes con amiloidosis producida por esta proteína. Por otro lado, el estudio también confirmo que no existe un beneficio clínico adicional en aquellos pacientes que estaban siendo tratados con una terapia de base con estabilizadores.

La amiloidosis por transtiretina es una enfermedad grave que produce el engrosamiento de las paredes el corazón, arritmias frecuentes y un deterioro progresivo del corazón que deriva en síntomas de insuficiencia cardiaca grave. Antes de la aparición de los tratamientos específico de esta enfermedad, los pacientes con amiloidosis por transtiretina tenían una esperanza de vida de entre 2 y 6 años.

Los tratamientos de la enfermedad disponibles actualmente para esta enfermedad incluyen los estabilizadores de la transtiretina que evitan la formación del amiloide (sustancia que se deposita en las paredes del corazón y hace que se engrosen), y los tratamientos silenciadores, cuyo objetivo es reducir la producción hepática de la transtiretina. El objetivo del estudio publicado fue determinar los efectos del tratamiento con un nuevo silenciador genético de la transtiretina en monoterapia y en combinación con un tratamiento de base con estabilizadores.

Los pacientes que recibieron el tratamiento silenciador de forma aislada obtuvieron beneficios clínicamente relevantes; reducción de mortalidad cardiovascular y de eventos cardiovasculares recurrentes, un menor deterioro de la capacidad funcional y la calidad de vida. Por el contrario, no se observó ningún beneficio adicional del tratamiento silenciador en pacientes que ya estaban recibiendo también tratamiento estabilizador al inicio del estudio.

Tratamiento individual

Este estudio, presentado simultáneamente en el Congreso de la Sociedad Europea de Cardiología (ESC 2026), clarifica la estrategia de tratamiento a seguir en pacientes con esta enfermedad al identificar que la asociación de tratamientos no aporta beneficios y que, por el contrario, los tratamientos deben de administrarse de forma individual.

En el estudio, promovido por las compañías farmacéuticas AstraZeneca e Ionis, han participado **1.432 pacientes procedentes de diferentes países**. Se ha publicado en la revista *Nature Medicine* y se ha presentado en el Congreso Europeo de Cardiología (ESC 2026).

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.

El grupo del Dr. García Pavía 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.

- García-Pavía P, Cappelli F, Davis MK, Fontana M, Gillmore JD, Hanna M, et al. Eplontersen with and without background transthyretin stabilizers in transthyretin amyloid cardiomyopathy: secondary analysis of a phase 3, randomized controlled trial. Nat Med. 2026 Aug 30. doi:10.1038/s41591-026-04670-6.

URL de origen:https://www.cnic.es/es/noticias/nature-medicine-un-estudio-establece-papel-nuevos-tratamientos-para-amiloidosis-cardiaca