

Cerca de 1.000 profesionales participan en el XVII Simposio Internacional de Amiloidosis, organizado por la Sociedad Internacional de Amiloidosis y la Fundación PETHEMA, bajo el liderazgo clínico del Hospital Clínic de Barcelona

## **La afectación cardiaca en el momento del diagnóstico, principal factor pronóstico adverso en amiloidosis**

- Las amiloidosis son un grupo de enfermedades caracterizadas por el depósito de amiloide -una sustancia fibrilar aparentemente amorfa- en diversos tejidos y órganos
- El diagnóstico de la amiloidosis es histológico y depende de la demostración del depósito de amiloide en los tejidos
- El tratamiento de elección de la amiloidosis de cadenas ligeras (AL) en pacientes menores de 65 años con buen estado general y función cardiaca preservada es la quimioterapia con melfalán a dosis altas y rescate con trasplante autólogo de progenitores hematopoyéticos
- La amiloidosis por transtiretina (TTR) ya cuenta con diferentes tratamientos y cada vez se diagnostica más y antes gracias a los avances genéticos y a las técnicas de imagen
- El programa científico consta de 8 sesiones plenarias, 6 sesiones para exposición de 'abstracts' seleccionados y 5 simposios patrocinados por la industria, donde se abordarán temas de actualidad

**Barcelona, 14 de septiembre de 2020.** Las amiloidosis son un grupo de enfermedades causadas por el depósito de amiloide -una sustancia fibrilar aparentemente amorfa- en diversos tejidos y órganos. Hay diferentes tipos de amiloidosis, que se diferencian entre sí por la proteína precursora de la sustancia amiloide, aunque también se pueden clasificar según la etiología (hereditaria o adquirida) y la distribución de los depósitos de amiloide (localizados o sistémicos). Al menos 25 proteínas pueden formar fibrillas de amiloide. Al ser una enfermedad multiorgánica, requiere de equipos multidisciplinares para su correcto abordaje. La amiloidosis de cadenas ligeras (AL) está causada por las cadenas ligeras de inmunoglobulinas producidas en la médula ósea. Con una incidencia de 0,9 nuevos casos por 100.000 habitantes y año, es la forma más frecuente de amiloidosis y los pacientes que la padecen son tratados por el hematólogo, ya que se engloba en el campo de las gammopatías monoclonales, al igual que el mieloma múltiple.

Con el objetivo de analizar los nuevos enfoques y tratamientos que se están aplicando en el abordaje de las amiloidosis, la Sociedad Internacional de Amiloidosis (ISA en sus siglas inglesas) y el Programa Español de Tratamientos en Hematología (PETHEMA), de la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH), organizan de forma virtual el XVII Simposio Internacional de Amiloidosis, que se desarrollará desde hoy y hasta el próximo viernes. En la rueda de prensa oficial, el Dr. Joan Bladé, hematólogo de la Unidad de Amiloidosis y Mieloma del Hospital Clínic de Barcelona

y referencia mundial en el abordaje de estas enfermedades, ha anunciado que “participarán cerca de 1.000 profesionales de todo el mundo, entre hematólogos, nefrólogos, neurólogos, hepatólogos, internistas y cardiólogos, todos ellos implicados en el abordaje de esta enfermedad multisistémica”, y ha destacado el liderazgo clínico del Hospital Clínic en la organización de esta cita científica internacional.

Generalmente, el diagnóstico de la amiloidosis “es histológico y depende de la demostración del depósito de amiloide en los tejidos”, señala el experto. La biopsia por aspiración con aguja fina de la grasa abdominal “es la técnica más sensible (80% de sensibilidad), por lo que se considera el procedimiento de elección”. Tras evidenciarse el amiloide, el paso siguiente será la identificación del tipo de proteína precursora para establecer el diagnóstico definitivo del tipo de amiloidosis. Otras localizaciones donde se puede objetivar la presencia del amiloide mediante biopsia son el recto o la mucosa oral o lingual. En determinadas situaciones es necesario realizar una biopsia renal, hepática o incluso endomiocárdica para establecer el diagnóstico. “El principal factor pronóstico adverso es la afectación cardíaca en el momento del diagnóstico”, señala.

### **Nuevos enfoques terapéuticos**

En este simposio “se analizarán los nuevos enfoques y tratamientos que se están aplicando en el abordaje de la amiloidosis AL: combinaciones basadas en bortezomib (fármaco inhibidor del proteasoma), agentes alquilantes (grupo de fármacos empleados en quimioterapia), anticuerpos monoclonales y autotrasplante de progenitores hematopoyéticos”, apunta el Dr. Bladé. Por el momento, “el tratamiento de elección de la amiloidosis AL en pacientes menores de 65 años con buen estado general y función cardíaca preservada, es la quimioterapia con melfalán a dosis altas y rescate con autotrasplante de progenitores hematopoyéticos”, explica. “En aquellos pacientes que logran alcanzar respuesta completa, la supervivencia puede superar los 10 años”, añade. “En el resto de pacientes, se continúa con quimioterapia basada en agentes alquilantes a dosis más bajas y esteroides (melfalán y dexametasona), junto con la realización de controles frecuentes por parte del hematólogo, si bien en los últimos años se están empezando a utilizar nuevos esquemas terapéuticos que permitirán obtener mejores resultados”.

En lo relativo a la amiloidosis por transtiretina (TTR), esta puede ser hereditaria por mutaciones de la TTR, con manifestaciones neurológicas y/o cardíacas, o debida al envejecimiento de la TTR y denominada amiloidosis cardíaca senil. “Hoy ya existen tratamientos para este tipo de amiloidosis y cada vez se diagnostica más y antes gracias a los avances genéticos y a la disponibilidad de técnicas de imagen más sofisticadas”, señala el experto. En el simposio se presentarán resultados de las nuevas terapias en investigación, como tafamidis, inotersén o patisirán, fármacos con mecanismos de acción novedosos dirigidos a reducir la producción de la proteína amiloidogénica, interferir en la formación de amiloide y favorecer su degradación, con el fin último de permitir la recuperación de los órganos afectados.

El programa científico del XVII Simposio Internacional de Amiloidosis reparte, a partes iguales, el protagonismo entre la amiloidosis AL y la amiloidosis por TTR, y buena prueba de ello es que cada una de estas entidades contará con su propia sesión final de temas candentes, pero también habrá espacio para abordar otras formas de la enfermedad. En total, están previstas 8 sesiones plenarias, 6 sesiones para exposición de ‘abstracts’ seleccionados y 5 simposios patrocinados por la industria, donde se abordarán temas tales como la formación, deposición y depuración de las fibrillas de amiloide; el diagnóstico y manejo de la amiloidosis AL en 2020; el papel del autotrasplante de progenitores hematopoyéticos en la amiloidosis AL; el tratamiento de pacientes con amiloidosis AL no candidatos a autotrasplante; genética y ciencia básica en amiloidosis por TTR; características clínicas y seguimiento de la amiloidosis por TTR hereditaria; trasplante de órganos en amiloidosis sistémica; o amiloidosis AA y otras formas de la enfermedad. La conferencia de apertura correrá a cargo del Dr. Per Westermark (Uppsala, Suecia) y lleva por título “Amiloidosis: clasificación y epidemiología”.

Seguidamente, se dará paso a la conferencia “En busca de la cura de la enfermedad amiloide”, a cargo del Dr. Giampaolo Merlini (Pavia, Italia).

“No cabe duda de que se trata de un simposio exhaustivo en el que se analizarán todos los aspectos relacionados con la amiloidosis y se incorporarán todos los nuevos avances diagnósticos, pronósticos y, particularmente, terapéuticos”, concluye el Dr. Bladé.

### **PETHEMA: más de 4.400 pacientes tratados en la última década**

El Dr. José Francisco Tomás, patrono de la Fundación PETHEMA, ha destacado algunos datos del grupo cooperativo de la SEHH con mayor producción científica. “En la última década, más de 4.400 pacientes se han beneficiado de los tratamientos en ensayos clínicos de PETHEMA y más de un centenar de hospitales de España y 6 de Portugal han participado (y siguen haciéndolo) en los estudios impulsados por este grupo”, señala. Además, “se han generado más de 225 publicaciones internacionales en los últimos 5 años, con una media de factor de impacto anual de 307.7”. Todo esto es fruto del trabajo de los subgrupos de investigación académica e independiente con que cuenta PETHEMA en mieloma múltiple, leucemia aguda linfoblástica, leucemia aguda mieloblástica, leucemia linfática crónica, síndromes mielodisplásicos, insuficiencia medular y púrpura trombocitopénica inmune. “Probablemente estemos en uno de los mejores momentos de este grupo cooperativo y de la hematología española en general; por ello, estamos muy orgullosos de liderar, junto con el Hospital Clínic y la Sociedad Internacional de Amiloidosis, la organización de este simposio internacional”.

Según el Dr. Tomás, “el gran esfuerzo que se ha realizado estos últimos años ha puesto a España y, más concretamente al grupo PETHEMA, dentro de la órbita europea e internacional, como uno de los países líderes en investigación clínica. Gracias al trabajo multidisciplinar y multicéntrico, y a la captación de los diferentes puntos de vista en torno a las enfermedades hematológicas, hemos conseguido avanzar en su conocimiento y estimular la participación de una gran parte de los hospitales de España. Desde las instituciones sanitarias se debería favorecer e incentivar todavía más la investigación clínica, financiándola de una manera correcta y facilitando la participación de los diferentes centros en los estudios cooperativos. También debería minimizarse la burocracia que muchas veces comporta el enlentecimiento de los estudios”.

### **Sobre el Programa Español de Tratamientos en Hematología (PETHEMA)**

PETHEMA es un grupo cooperativo de investigación académica e independiente adscrito a la SEHH. Está constituido por hematólogos clínicos e investigadores de laboratorio de la red de hospitales del sistema sanitario público español, algunos centros privados y varios hospitales europeos y sudamericanos. Su único interés es impulsar proyectos de investigación médica en el entorno de la especialidad de Hematología y Hemoterapia con el objetivo de generar nuevos conocimientos en torno a las enfermedades de la sangre, así como procedimientos idóneos para su diagnóstico y, muy especialmente, tratamientos que permitan curar a las personas que las padecen o, al menos, prolongar su vida sin renunciar a ciertos estándares de calidad.

Por su parte, la Fundación PETHEMA se creó con el objetivo de captar recursos para las actividades de investigación desarrolladas por los diferentes subgrupos que conforman PETHEMA y facilitar en todo lo necesario el ejercicio de esta labor investigadora. Es por ello que está gestionada por profesionales sanitarios y especialistas en fundaciones que conforman un equipo humano con amplia experiencia en investigación.

### **Para más información y gestión de entrevistas:**

**Jorge Sánchez Franco**

Tels.: 91 319 58 16 / 667 675 476

E-mail: [comunicacion@sehh.es](mailto:comunicacion@sehh.es)

**Alba Corrada de la Fuente**

Tel.: 91 319 19 98

E-mail: [albacorrada@sehh.es](mailto:albacorrada@sehh.es)

Web: [www.sehh.es](http://www.sehh.es)

Twitter: [@sehh\\_es](https://twitter.com/sehh_es)

Canal Youtube: [HemoTube](https://www.youtube.com/HemoTube)

LinkedIn: [www.linkedin.com/company/sehh/](http://www.linkedin.com/company/sehh/)