

Medicinsk Nyhed

Amyloidosekardiomyopati og gendæmpning

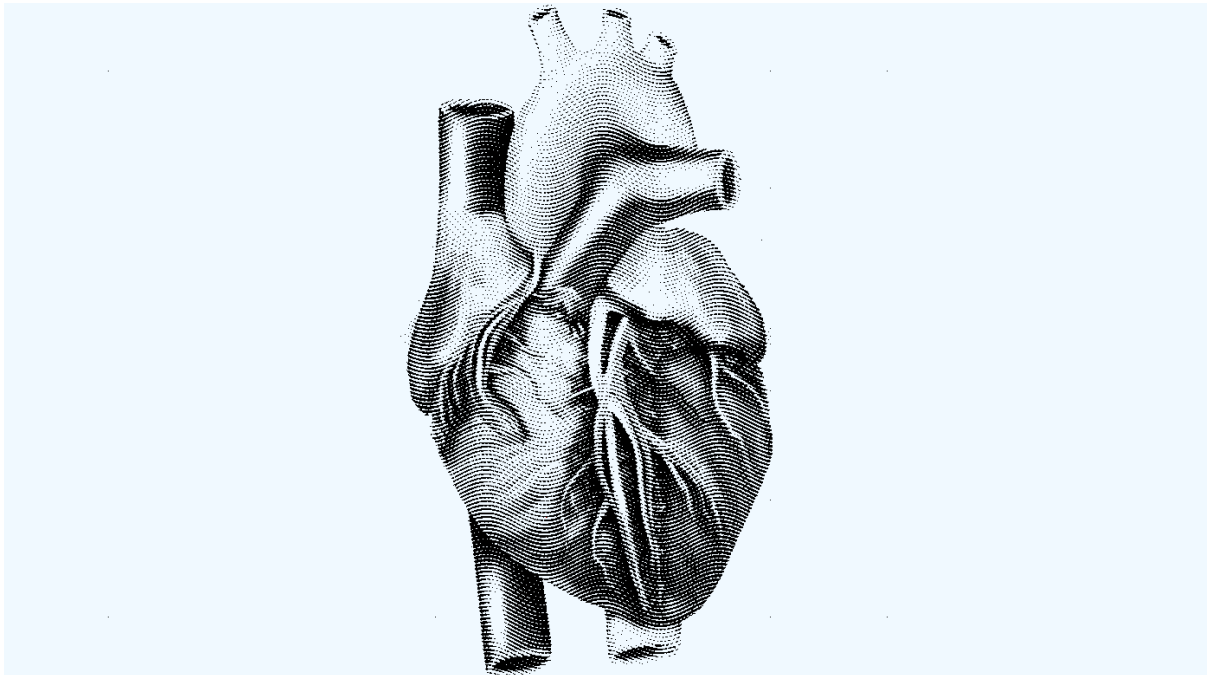
Transthyretin er et leverproduceret protein, der aflejres i væv ved amyloidose, herunder i hjertemuskulaturen. I en stor metaanalyse har man set på effekten af såkaldt gendæmpningsterapi.

En strategi ved transthyretinamyloidose (ATTR) er at lukke ned for proteinsyntesen i leveren. En anden strategi er at stabilisere formen af proteinet i blodet. En metaanalyse har samlet resultaterne fra to placebokontrollerede studier, særligt med hensyn til gendæmpning, som i teorien burde føre til mindre aflejring og dermed bedre forløb ved amyloidosekardiomyopati.

Professor, overlæge Steen Hvitfeldt Poulsen, Hjertesygdomme, Aarhus Universitetshospital, kommenterer: »ATTR-kardiomyopati (ATTR-CM) er en progressiv aflejringssygdom, som er associeret med betydelig øget morbiditet samt dødelighed. Klinisk præsenterer sygdommen sig typisk med hjertesvigt, atrieflimren, aortastenose og er associeret med ortopædiske tilstande som karpaltunnelsyndrom, spontane senerupturer samt lumbal spinalstenose. Der findes to former for ATTR-CM, nemlig en arvelig form samt en aldersrelateret form (vildtype), der er langt den hyppigste og afficerer primært mænd. I en metaanalyse baseret på to placebokontrollerede studier med 2.086 ATTR-CM-patienter, primært mænd med en alder på 77 år, reducerede behandling med transthyretin (TTR)-gendæmpning det primære endepunkt (død og kardiovaskulære events) med 20% ($p = 0,006$). Behandlingen bevarede livskvaliteten og funktionskapaciteten sammenlignet med placebo. Effekten var uafhængig af funktionsklasse, alder samt ATTR-type. Hos patienter, der ved baseline (40-57%) var i behandling med en TTR-stabiliserende behandling, fandtes der ingen additiv effekt på det primære endepunkt af gendæmpning«.

Gillmore JD, Hamatani Y, Fontana M et al. Gene Silencer Therapy in Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy: A Meta-Analysis of Outcomes Trials. JAMA. 2026, in press. <https://doi.org/10.1001/jama.2026.17246>

Interessekonflikter ingen



Redigeret af Jens Peter Gøtze, jpg@dadlnet.dk