

✖ Medexpress, 2021-10-26 07:24

Światowy Dzień Amyloidozy

Debata: Oblicza ATTR - Szanse i wyzwania



Amyloidoza transtyretynowa (ATTR) jest to rzadka choroba, powstająca w wyniku odkładania się nieprawidłowej substancji - amyloidu - w organizmie chorego. Złogi zaburzają prawidłową funkcję tkanek i narządów, prowadząc do postępującego uszkodzenia wielonarządowego. W Polsce amyloidozę transtyretynową zdiagnozowano u ok. 30 pacjentów.

Pod względem rozwoju choroby, wyróżniamy dwa rodzaje amyloidozy transtyretynowej:

- transtyretynową polineuropatię amyloidową (ang. transthyretin amyloid polyneuropathy, ATTR-PN, w przypadku której dominują objawy uszkodzenia obwodowego układu nerwowego)
- kardiomiopatię w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ang. Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy) (ATTR-CM), prowadzącą do uszkodzenia serca

Oba rodzaje tej choroby nieleczone prowadzą do zgonu pacjenta.

W debacie udział wzięli:

Dr Katarzyna Holcman, Krakowski Szpital Specjalistyczny im. Jana Pawła II

Prof. Jacek Grzybowski, kierownik Oddziału Kardiomiopatii Narodowego Instytutu Kardiologii

Dr Jakub Gierczyński, ekspert ochrony zdrowia

Zbigniew Pawłowski, prezes Stowarzyszenia Rodzin z Amyloidozą TTR

W debacie mówimy m.in. o tym:

- czym jest amyloidoza transtyretynowa serca
- jak wygląda droga pacjenta od pojawienia się objawów do diagnozy
- jaki jest cel leczenia amyloidozy transtyretynowej serca
- jak leczenie wpływa na jakość życia pacjenta
- jakiego wsparcia oczekują pacjenci
- o koniecznych zmianach systemowych dla tej grupy pacjentów w kontekście Planu dla Chorób Rzadkich

Leczenie:

Terapią stabilizującą przebieg choroby jest leczenie tafamidisem, pochodną benoksazolu, która hamuje proces amyloidogenezy. Tafamidis jest zarejestrowany w Unii Europejskiej do leczenia amyloidozy transtyretynowej w dwóch wskazaniach (polineuropatia i kardiomiopatia). Obecnie terapia ta nie jest finansowana ze środków publicznych w Polsce. Ponadto w terapii amyloidozy transtyretynowej zastosowanie ma również inotersen i patisirian – również nie dostępne dla polskich pacjentów.

Więcej informacji na tematy poruszane w debacie znajdą Państwo na stronie Stowarzyszenia Rodzin z Amyloidozą TTR [amyloidozattr.pl](https://www.amyloidozattr.pl)