

Ensayo para tratar pacientes con Amiloidosis familiar y mutaciones en el gen de la TTR (PAF-TTR).

¿Cuál es el objetivo de este ensayo?

El Patisiran Intravenoso (Iv) se ha mostrado eficaz para el tratamiento de la PAF-TTR. En este ensayo se evaluará la eficacia y seguridad de Patisiran vía subcutánea. Todos los pacientes llevarán la medicación pero un grupo lo llevará vía intravenosa cada 3 semanas y otro grupo vía subcutánea cada semana.

¿Quién puede participar en este ensayo?

- Pacientes entre 18-85 años.
- Que tengan amiloidosis familiar con síntomas y mutación en el gen de transtiretina.
- Que cumplan unos requisitos de gravedad pre-establecidos.
- El estudio durará aproximadamente 3 años.
- Se excluirán los pacientes que hayan sido sometidos a trasplante hepático y los que tengan otras formas de amiloidosis.
- Hay otros criterios de exclusión de laboratorio que no detallamos.

¿Qué pasará durante el ensayo?

Durante el ensayo se le pedirá (al paciente) que acuda al hospital para el tratamiento.

Se realizarán analíticas y otras pruebas de control.

Personal experto monitorizará su estado de salud durante el estudio.

Investigadora principal del ensayo: Teresa Sevilla Mantecón

Lugar de realización: Hospital Universitari i Politècnic La Fe.

Contacto: sevilla_ter@gva.es

Tel: 630037313