

Όνομα υποψηφίου διδάκτορα: Δημήτριος-Ανάργυρος Μπαμπατσιάς

3μελής επιτροπή: Αλέξανδρος Μπριασούλης (επιβλέπων), Κίμων Σταματελόπουλος, Ευστάθιος Καστρίτης

Τίτλος: Η επίδραση της ταφαμίδης στην καρδιακή και αγγειακή λειτουργία σε ασθενείς με μυοκαρδιοπάθεια από τρανσθυρετίνη.

Περίληψη

Υπόβαθρο: Η σποραδική αμυλοείδωση καρδιάς από τρανσθυρετίνη (cardiac transthyretin amyloidosis (cATTR)) είναι μια εκφυλιστική νόσος που προκαλείται από τη γήρανση και χαρακτηρίζεται από δυσμενή πρόγνωση και συνεχώς αυξανόμενη επίπτωση. Η ATTR ενδέχεται να επιδρά επιπλέον στην αγγειακή λειτουργία και να επιταχύνει την αγγειακή γήρανση. Η ταφαμίδα, είναι μία νέα φαρμακευτική ουσία που δρα σταθεροποιώντας το τετραμερές της τρανσθυρετίνης και ενδέχεται να βελτιώνει την πρόγνωση των ασθενών cATTR. Ωστόσο, παραμένει άγνωστη η επίδραση της ταφαμίδης στην αγγειακή δομή και λειτουργία.

Σκοπός: Ο κύριος σκοπός μας είναι να διερευνήσουμε τη συσχέτιση μεταξύ παραμέτρων καρδιακής και αγγειακής λειτουργίας και δομής σε ασθενείς με cATTR και την επίδραση της θεραπείας με ταφαμίδα σε αυτές.

Πληθυσμός: Θα συμμετέχουν 25 ασθενείς με cATTR με ένδειξη να λάβουν θεραπεία με ταφαμίδα. Επιπλέον, θα στρατολογηθούν 25 ασθενείς με καρδιακή ανεπάρκεια με διατηρημένο κλάσμα εξώθησης και 25 υγιή άτομα, αντιστοιχισμένα προς το φύλο και την ηλικία, ως ομάδες ελέγχου.

Μεθοδολογία: Η παρούσα μελέτη είναι μια μη επεμβατική μελέτη παρακολούθησης. Οι ασθενείς θα παρακολουθούνται προοπτικά με μη επεμβατικές τεχνικές αξιολόγησης της αγγειακής και καρδιακής δομής και λειτουργίας. Στις τεχνικές αυτές συμπεριλαμβάνονται προηγμένες υπερηχοκαρδιογραφικές αναλύσεις, μέτρηση αορτικής σκληρίας μέσω ανάλυσης της ταχύτητας σφυγμικού κύματος, δείκτες ανακλώμενων αρτηριακών κυμάτων, αξιολόγηση της ροοεξαρτώμενης αγγειοδιαστολής και υπερηχογραφικός έλεγχος του τοιχώματος των καρωτίδων. Επιπλέον, θα μετρηθούν βιοδείκτες καρδιαγγειακής νόσου, αγγειακής φλεγμονής και των επιπέδων της τρανσθυρετίνης στο αίμα.

Recruiting

PhD candidate name: Dimitrios-Anargyros Bampatsias

3-member advisory committee: Alexandros Briasoulis (supervisor), Kimon Stamatelopoulos, Efsthios Kastitis

Title: Evaluation of the effect of Tafamidis treatment on cardiac and vascular function in patients with Transthyretin cardiomyopathy

Abstract

Background: Sporadic cardiac transthyretin amyloidosis (cATTRwt) is a degenerative age-related disease with dismal prognosis and continuously increasing incidence. ATTR may have adverse effects also on vascular function and accelerate vascular aging. Tafamidis, a new agent that stabilizes the TTR tetramer may improve cATTRwt prognosis; however, whether Tafamidis exerts any actions on vascular aging processes is unknown.

Aim: Our primary aim is to explore associations of markers of cardiovascular aging with characteristics of the cATTRwt and their response to treatment with Tafamidis. A secondary aim is to provide insight into the underlying pathophysiologic molecular mechanisms associated with cATTRwt and the effect of Tafamidis on the disease.

Population: 25 patients with cATTRwt with indication to receive Tafamidis treatment will be enrolled. These patients will be compared at baseline with 25 control patients with heart failure and preserved ejection fraction and 25 age and sex-matched healthy subjects.

Methods and assessment: This is an observational, non-interventional longitudinal study. cATTRwt patients, already followed in our Amyloidosis Clinic, will be evaluated prospectively for non-invasive markers of vascular and cardiac structure and function including arterial stiffness by pulse wave velocity (PWV, primary outcome measure), markers of arterial wave reflections, flow-mediated dilatation, carotid ultrasound and cardiac echocardiographic markers. Circulating markers of cardiac disease, vascular inflammation and TTR levels will also be measured.