

## Información complementaria: recomendaciones de manejo y seguimiento en pacientes con amiloidosis hereditaria mediada por transtiretina

### Complementary information to the article: recommendations for management and follow-up in patients with transthyretin-mediated hereditary amyloidosis

Gina González-Robledo<sup>1,2\*</sup>, Sandra M. Castellar-Leones<sup>3,4</sup>, Andrés Díaz-Campos<sup>5</sup>, Jorge A. Díaz-Ruíz<sup>6</sup>, Jennifer Garay<sup>7</sup>, German C. Giraldo-Gonzalez<sup>8</sup>, Martha Gómez-Castro<sup>9</sup>, Juan D. López-Ponce de León<sup>10</sup>, Erika M. Martínez-Carreño<sup>11</sup>, Jairo H. Naranjo-Flóres<sup>12</sup>, Diana C. Ramos<sup>13</sup>, María J. Rodríguez-González<sup>14</sup>, Edicson Ruíz-Ospina<sup>15,16</sup>, Diana C. Sánchez-Peñarete<sup>17</sup>

<sup>1</sup>Departamento de Medicina Interna, Sección de Cardiología, Hospital Universitario Fundación Santa Fe de Bogotá, Bogotá; <sup>2</sup>Facultad de Medicina, Universidad de Los Andes, Bogotá; <sup>3</sup>Medicina Física y Rehabilitación, Instituto Roosevelt, Bogotá; <sup>4</sup>Departamento de Medicina Física y Rehabilitación, Hospital Universitario Nacional de Colombia, Bogotá; <sup>5</sup>Departamento de Neurología, Clínica Reina Sofía, Bogotá; <sup>6</sup>Departamento de Medicina Física y Rehabilitación, Universidad Nacional de Colombia, Bogotá; <sup>7</sup>Departamento de Medicina Interna, Universidad de Antioquia, Envigado; <sup>8</sup>Departamento de Cardiología, Todo por el Corazón, Manizales; <sup>9</sup>Departamento de Genética. Unifetal. Barranquilla, Colombia; <sup>10</sup>Departamento de Cardiología, Fundación Valle del Lili, Cali; <sup>11</sup>Departamento de Medicina Interna, Programa de Insuficiencia Cardíaca, Clínica Iberoamericana, Barranquilla; <sup>12</sup>Departamento de Oftalmología, Clínica de Marly, Bogotá; <sup>13</sup>Departamento de Medicina Interna subespecialidades, Servicio de Neurología, La Cardio-Fundación Cardioinfantil, Bogotá; <sup>14</sup>Departamento de Falla Cardíaca y Trasplante Cardíaco, La Cardio – Fundación Cardioinfantil, Bogotá; <sup>15</sup>Departamento de Medicina Física y Rehabilitación, Instituto Ortopedia Infantil Roosevelt, Bogotá; <sup>16</sup>Unidad de Rehabilitación Infantil, Universidad Nacional, Bogotá; <sup>17</sup>Departamento de Genética, Instituto Roosevelt, Bogotá. Colombia

Bogotá, D.C., febrero 2 de 2024

Estimado Editor:

A continuación, se complementa la declaración de conflictos de interés, y se hacen algunas precisiones para el artículo «Recomendaciones de tratamiento y seguimiento en pacientes con amiloidosis hereditaria mediada por transtiretina», publicado en la Revista Colombiana de Cardiología Volumen 30 Número 6 de 2023.

Las recomendaciones que hemos dado sobre el seguimiento son, en su orden:

- Papel de la genética en la amiloidosis por transtiretina hereditaria (hATTR)
- Seguimiento neurológico en pacientes sintomáticos.

- Evaluaciones complementarias en pacientes con hATTR y síndrome del túnel carpiano.
- Evaluaciones complementarias del sistema nervioso autónomo en pacientes con hATTR.
- Valoración cardiológica en pacientes con hATTR.
- Seguimiento nefrológico en pacientes con hATTR.
- Tratamiento oftalmológico del paciente con hATTR (en el que recomiendan los oftalmólogos manejo sintomático).

Este grupo de trabajo comenzó como una iniciativa de carácter académico entre colegas. Somos un conjunto de médicos de diferentes especialidades que empezamos a diagnosticar pacientes con amiloidosis TTR en Colombia. Al requerir el concurso de otras

**\*Correspondencia:**

Gina González-Robledo

E-mail: ginagroble@gmail.com

0120-5633 / © 2024 Sociedad Colombiana de Cardiología y Cirugía Cardiovascular. Publicado por Permanyer. Este es un artículo *open access* bajo la licencia CC BY-NC-ND (<http://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/>).

Fecha de recepción: 15-03-2024

Fecha de aceptación: 21-03-2024

DOI: 10.24875/RCCAR.M24000228

Disponible en internet: 13-05-2024

Rev Colomb Cardiol. 2024;31(2):122-124

[www.rccardiologia.com](http://www.rccardiologia.com)

especialidades, conformamos un grupo de interés, que coincidió en distintas reuniones focalizadas en el tema. Paulatinamente, vimos la necesidad no cubierta de ordenar unas pautas adaptadas a nuestro entorno sanitario, capaces de orientar a médicos del territorio nacional, en una ruta asistencial que permitiera abarcar la complejidad e interdisciplinariedad que estos pacientes requieren. Muchos de nosotros nos hemos formado en centros de referencia internacional de esta patología en Reino Unido, España, Suiza y Portugal. Acudimos al laboratorio PTC Therapeutics para solicitar soporte logístico (desplazamientos y una noche de alojamiento) para la reunión de finalización del escrito, tras un proceso previo de revisión de la literatura por los integrantes del panel de discusión, en donde participaron, entre otras personas, el doctor Efraín Gómez, respetado profesor de cardiología.

Los criterios para seleccionar a los participantes fueron:

- Experiencia en el manejo de enfermedades neuromusculares.
- Experiencia en el manejo de pacientes con amiloidosis.
- Publicaciones sobre el tema.
- Conocimiento e interés en la enfermedad.
- Disposición para trabajar en el proyecto sin recibir honorarios ni retribuciones.

Se seleccionó un panel multidisciplinario de expertos formado por 41 especialistas en diferentes áreas de medicina (cardiología, neumología, fisioterapia, genética, nefrología, oftalmología, neurología e imagenología) a quienes se invitó a participar en la reunión; este listado se adjuntó en el sometimiento en los créditos de la publicación.

Luego de colaboraciones previas que hemos tenido con la empresa Integralis en los consensos de insuficiencia cardiaca –en los que los cardiólogos de este grupo hemos participado–, decidimos también acudir a ellos para el servicio de *medical writer*, de forma tal que PTC Therapeutics pudiera mantenerse al margen de cualquier actividad relacionada con la elaboración del reporte de la reunión y la del artículo para someterlo para publicación, costo que el laboratorio también decidió asumir. Con Integralis en el equipo, una vez realizada una revisión de la evidencia disponible por parte de los especialistas mencionados, nos reunimos para elaborar las propuestas de recomendaciones en cada una de las áreas. Se envió a todos los participantes en la reunión, la bibliografía relevante sobre la enfermedad, incluyendo guías de práctica clínica. En reunión presencial, se expuso la síntesis por especialistas de las áreas del

conocimiento. El *medical writer* certificó que el trabajo se realizó en forma independiente de PTC Therapeutics.

Posteriormente, se presentaron las recomendaciones elaboradas para cada especialidad y se sometieron a votación. Se utilizó la metodología Delphi, estableciendo como punto de corte un 75% de favorabilidad. En caso de no lograr este margen de favorabilidad, se expusieron los argumentos en favor y en contra por parte del panel, y se reestructuró la recomendación de acuerdo con la discusión, la cual fue sometida a una segunda votación. Una vez que las recomendaciones fueron aceptadas, se hicieron ajustes menores en su redacción y contenido de acuerdo con la opinión de los participantes. Los autores principales hicimos la revisión de la literatura y elaboramos la primera versión de las recomendaciones, que fue presentada durante la reunión de consenso.

Contemplando que muchos de nosotros hemos recibido, en cualquier momento de nuestro ejercicio, honorarios, becas, *advisory board* y patrocinio de actividades académicas por parte de la industria, anexamos dicha declaración aclarando explícitamente que, en particular, el laboratorio PTC Therapeutics en ningún momento intentó influir en las recomendaciones que aparecen en el artículo y que, de hecho, como resultado de las revisiones del manuscrito efectuadas por los autores después de la reunión, en ninguna oportunidad se realizaron cambios en las recomendaciones, pues, de acuerdo con la metodología establecida, estos cambios requerían de una votación nueva. Existe una grabación completa de la reunión. Por lo anterior, rechazamos enérgicamente que se sugiera que este trabajo ha sido influenciado por la industria farmacéutica.

Adicionalmente, declaramos haciendo uso de nuestra honorabilidad, que el trabajo del *medical writer* se desarrolló de forma completamente independiente de PTC Therapeutics y refleja únicamente la información obtenida durante la reunión o sugerida por los autores durante el proceso de revisión.

Sobre el actual trabajo de la genetista Diana Sánchez en PTC Therapeutics, de acuerdo con lo expresado por la doctora, especificamos que en el momento en que la profesional participó en el consenso no trabajaba en PTC Therapeutics y las filiaciones registradas en el artículo corresponden a su situación laboral de esa época.

Al someter el artículo, se incluyeron en la página del título los nombres de los participantes, no autores principales, en la sección de agradecimientos. La publicación no contiene esta sección y, por tanto, pensamos que es un probable error de la tipografía, por tanto anexamos aquí el párrafo de Agradecimientos.

## Agradecimientos

Los autores agradecen a los doctores: Laura Peña, Christian Correa, Sergio Morales, Gina Gonzalez, Cynthia Rucinski, Efraín Gómez, Isabel Londoño, Indira Faquira, Harry Pachajoa, José Pinto Quiroz, María Paola Torres, Tatiana Bernal, Carolina Rivera, Tatiana Gómez, Julio Reyes, Sandra Zuleta, Rita Ortega, Alba Marentes, Luis Fontanilla, Jenny Vicuña, Liliana Villareal, Diana Carolina Ramos, Sandra Castellar, Dora Inés Molina, Jaime Crump, Isabel Cárdenas, Jubby Marcela Gálvez, Gustavo Márquez, Marco Alvarado y Diego Jiménez por su participación en el consenso y sus aportes a la discusión.

Al consultar nuevamente los patrocinios recibidos por la industria, agregamos estos cambios en la Declaración de Conflicto de Interés:

- Erika Martínez ha recibido honorarios por Abbott, Amgen, AstraZeneca, Bayer, Boehringer Ingelheim, Pfizer, PTC Therapeutics, Menarini, Merck S&D, Sanofi, Servier, MSD, Bristol, Novartis y Roche.
- Gina González Robledo, ha realizado conferencias y advisory board para Abbott/St. Jude, Astra Zeneca, Bayer (Colombia y Perú), Boehringer Ingelheim, CSL Vifor internacional, Farma de Colombia y de Ecuador, Novartis, Pfizer (Colombia, Honduras, Costa Rica), PTC Therapeutics, Menarini, Sanofi, Servier y Temis Lotalo de Argentina y ha recibido un premio beca de la Asociación Colombiana de Medicina Interna con Vifor internacional, para formación en insuficiencia cardíaca y trasplante durante un año en España. Los demás autores no declaran nada adicional al apoyo logístico de PTC Therapeutics para la reunión.