



Augmentation Therapy for Severe Alpha-1 Antitrypsin Deficiency Improves Survival and Is Decoupled from Spirometric Decline-A Multinational Registry Analysis

Autor del comentario: Dr. José María Hernández Pérez. FEA de Neuromología. Hospital Universitario Nuestra Señora de Candelaria. Santa Cruz de Tenerife. Coordinador Nacional del REDAAT.

Daniel D Fraughen, Auyon J Ghosh, Brian D Hobbs, Georg-Christian Funk, Tobias Meischl, Christian F Clarenbach, Noriane A Sievi, Karin Schmid-Scherzer, Oliver J McElvaney, Mark P Murphy, Adam D Roche, Louise Clarke Matthew Strand, Florian Vafai-Tabrizi, Geraldine Kelly, Cedric Gunaratnam, Tomás P Carroll, Noel G McElvaney.

Am J Respir Crit Care Med. 2023 Nov 1;208(9):964-974. doi: 10.1164/rccm.202305-0863OC.

Se basa en un estudio observacional de 615 pacientes con DAAT con genotipos muy deficientes de 3 países (Irlanda, Suiza y Austria) donde el acceso al tratamiento aumentativo no es equitativo. El objetivo fue valorar los efectos en vida real del tratamiento aumentativo mediante estudio funcional y de mortalidad. Para ello fueron seguidos durante una media de 58 meses.

No se encontraron diferencias en la edad en el momento del diagnóstico, la proporción de hombres, tabaquismo, los años-paquete de tabaquismo, las alteraciones del hígado o los niveles de AAT. Una proporción significativamente mayor de personas se sometió a pruebas de DAAT por motivos de detección familiar en Irlanda (37 %), en comparación con aquellos en Suiza (7 %) y Austria (16 %) ($P < 0,001$). Por el contrario, los individuos irlandeses tenían significativamente menos probabilidades de ser diagnosticados de EPOC o de haberse realizado una espirometría previa en su visita inicial.

Al comparar la disminución del FEV1 (en mililitros) entre aquellos que recibieron tratamiento aumentativo periódicamente con lo que nunca lo recibieron (a pesar de tener indicación para ello), los parámetros pulmonares según clasificación de GOLD 2 ($50 \% \leq \text{FEV1} < 80 \%$) fueron el único grupo que mostró una reducción significativa en la disminución del FEV1.

Los sujetos que recibieron tratamiento tenían un probabilidad menor de mortalidad en el tiempo comparado con aquellos que nunca tuvieron acceso al tratamiento ($p = 0,009$). La presencia de EPOC al inicio del estudio confirió de forma independiente una supervivencia peor en comparación con los que no lo tenían. El aumento del estadio GOLD también predijo la mortalidad ($P = 0,022$). Como cosa anecdotica destacar que no haber fumado nunca no confirió mayor supervivencia sobre aquellos que eran fumadores activos o exfumadores.