



An observational study on the characteristics, treatment patterns and outcomes of patients with transthyretin amyloidosis

Astrid Juhl Terkelsen¹, Line Elmerdahl Frederiksen², Susanna Jerström², Ida van der Blom², Jacob Høj Berthelsen³, Anders Hammerich Riis³, Bo Thiesson³, Steen Hvitfeldt Poulsen¹

¹ Aarhus University Hospital, ² AstraZeneca A/S, ³ Enversion A/S

Baggrund

Transthyretin Amyloidosis (ATTR) er en klinisk heterogen og dødelig sygdom, der skyldes ophobning af transthyretin amyloide fibriller i forskellige organer og væv. ATTR bliver ofte overset eller fejldiagnosticeret hos patienter. Efterhånden som sygdommen skrider frem, efterligner symptomerne og de kliniske manifestationer af ATTR ofte dem fra andre mere almindelige sygdomme, hvilket yderligere komplicerer og forsinker diagnosen. Det resulterer ofte i hospitalskontakter, der kan undgås, fejldiagnosticering samt forsinket og suboptimal pleje. En bedre forståelse af den tidlige præsentation og progression af sygdommen vil hjælpe med at etablere forbedrede anbefalinger for diagnostiske og terapeutiske procedurer i opfølgningen af både præsymptomatiske patienter og dem med manifest ATTR.

Formål

Projektet ønsker at øge forståelsen af Transthyretin Amyloidosis (ATTR) og patientforløbet ved at analysere data fra både primær og sekundær sektor. De specifikke formål omfatter at:

- 1) Estimere sygdomshyppigheden og identificere hvad der karakteriserer patienter i de tidlige stadier af ATTR for at give klinikerne indsigt i rettidig opsporingsmuligheder, og
- 2) Beskrive behandlingsmønstre, patientforløbet og sygdomsbyrden blandt ATTR-patienter med henblik på at reducere forebyggelige hospitalsindlæggelser og forbedre prognosen gennem tidlig opsporing og optimeret patientpleje.

Metode

Projektet gennemføres i perioden 2024 – 2025.

Projektet udføres som et observationelt kohortestudie, baseret på data fra TVÆRSPOR kohorten i perioden fra 2012 til 2024. Studiepopulation består af alle 18+ årige personer med sygdommen ATTR i Region Midtjylland, der har fået tildelt ICD-10 diagnosekoden E85.

Outcomes er: Patientkarakteristika, behandlingsmønstre, sygdomsbyrde/forbrug af sundhedsydelser (kliniske udfald og kontakter til sundhedsvæsenet) samt mortalitet.

Data analyseres ved hjælp af regressionsmodeller og 'time-to-event' analyser.

Forventede anvendelse i praksis

Projektet vil give et samlet perspektiv på sygdomsforekomsten og sygdomsbyrden af ATTR ved at analysere data på tværs af sundhedssektorerne. Resultaterne vil kunne vejlede de sundhedsprofessionelle i, hvordan man på et tidligt stadie identificerer patienter med ATTR, optimerer patientforløb og potentielt forebygger sygdomsprogression samt reducerer antallet af forebyggelige hospitalskontakter hos patienterne.