

Artículo original

Consecución de objetivos terapéuticos de colesterol LDL en niños y adolescentes con hipercolesterolemia familiar. Registro longitudinal SAFEHEART

Adriana Saltijeral^{a,*}, Leopoldo Pérez de Isla^b, Rodrigo Alonso^c, Ovidio Muñiz^d, José Luis Díaz-Díaz^e, Francisco Fuentes^f, Nelva Mata^g, Raimundo de Andrés^h, Gonzalo Díaz-Sotoⁱ, José Pastor^j, José Miguel Pinilla^k, Daniel Zambón^l, Xavier Pinto^m, Lina Badimónⁿ, Pedro Mata^o, en nombre de los investigadores del estudio SAFEHEART[◇]

^aSección de Cardiología, Hospital Universitario del Tajo, Universidad Alfonso X el Sabio, Aranjuez, Madrid, España

^bServicio de Cardiología, Hospital Clínico San Carlos, Universidad Complutense de Madrid, IDISSC, Madrid, España

^cServicio de Medicina Interna, Clínica las Condes, Santiago de Chile, Chile

^dServicio de Medicina Interna, Hospital Virgen del Rocío, Sevilla, España

^eServicio de Medicina Interna, Hospital Abente y Lago, A Coruña, España

^fUnidad de Lípidos y Aterosclerosis, IMIBIC, Hospital Universitario Reina Sofía, Universidad de Córdoba, Córdoba, España

^gDepartamento de Epidemiología, Consejería de Sanidad, Comunidad de Madrid, Madrid, España

^hServicio de Medicina Interna, Fundación Jiménez Díaz, Madrid, España

ⁱDepartamento de Endocrinología, Hospital Clínico, Valladolid, España

^jServicio de Pediatría, Hospital General Universitario de Elche, Alicante, España

^kCentro de Salud San Miguel de Salinas, San Miguel de Salinas, Alicante, España

^lClínica de Lípidos, Servicio de Endocrinología, Hospital Clínic, Barcelona, España

^mServicio de Medicina Interna, Hospital Universitario de Bellvitge, L'Hospitalet de Llobregat, Barcelona, España

ⁿCentro de Investigación Cardiovascular, Instituto Catalán de Ciencias Cardiovasculares, IIB-Sant Pau, Barcelona, España

^oFundación Hipercolesterolemia Familiar, Madrid, España

Historia del artículo:

Recibido el 18 de julio de 2016

Aceptado el 4 de octubre de 2016

Palabras clave:

Hipercolesterolemia familiar
Objetivos de colesterol unido a lipoproteínas de baja densidad
Terapia hipolipemiente
Enfermedad cardiovascular
Niños
Adolescentes
Estatinas

RESUMEN

Introducción y objetivos: Poco se conoce acerca de las características de los sujetos con hipercolesterolemia familiar (HF) menores de 18 años, así como del tratamiento hipolipemiente empleado en estos pacientes y la consecución de objetivos lipídicos en la vida real. Nuestro objetivo es valorar la consecución de objetivos de colesterol unido a lipoproteínas de baja densidad (cLDL) en pacientes con HF menores de 18 años incluidos en un gran registro nacional.

Métodos: Se analizó a los pacientes menores de 18 años incluidos en un gran registro en marcha de pacientes con diagnóstico genético de HF en España. Se analizó la consecución de los objetivos recomendados de cLDL en plasma a la inclusión y en el seguimiento en relación con el uso de terapia hipolipemiente.

Resultados: Se incluyó a 392 individuos menores de 18 años, de los que 217 obtuvieron diagnóstico genético de HF y seguimiento completo. El tiempo de seguimiento medio fue 4,69 [intervalo intercuartílico, 2,48-6,38] años; el 68,2% de los casos con HF tomaban estatinas y el 41,5% de los pacientes tenían el cLDL < 130 mg/dl. El uso de estatinas fue el único predictor de consecución de objetivos de cLDL.

Conclusiones: Este estudio demostró que una alta proporción de pacientes con HF menores de 18 años tenía altas concentraciones de cLDL y no lograron alcanzar los objetivos de cLDL recomendados. El uso de estatinas fue el único predictor independiente asociado a conseguir el objetivo de cLDL recomendado. No se detectó ningún problema de seguridad durante el seguimiento. Estos resultados enfatizan que muchos pacientes con HF no están suficientemente controlados y aún es posible mejorar del tratamiento.

© 2016 Sociedad Española de Cardiología. Publicado por Elsevier España, S.L.U. Todos los derechos reservados.

VÉASE CONTENIDO RELACIONADO:

<http://dx.doi.org/10.1016/j.recesp.2016.12.007>

* Autor para correspondencia: Sección de Cardiología, Hospital Universitario del Tajo, Avenida del Amazonas Central s/n, 28300 Aranjuez, Madrid, España.
Correo electrónico: adicerezo@gmail.com (A. Saltijeral).

◇ La lista de los investigadores del SAFEHEART se muestra en el [anexo](#).

<http://dx.doi.org/10.1016/j.recesp.2016.10.012>

0300-8932/© 2016 Sociedad Española de Cardiología. Publicado por Elsevier España, S.L.U. Todos los derechos reservados.

Attainment of LDL Cholesterol Treatment Goals in Children and Adolescents With Familial Hypercholesterolemia. The SAFEHEART Follow-up Registry

ABSTRACT

Keywords:
Familial hypercholesterolemia
Low-density lipoprotein cholesterol goals
Lipid-lowering therapy
Cardiovascular disease
Children
Adolescents
Statins

Introduction and objectives: Little is known about the characteristics of persons with familial hypercholesterolemia (FH) younger than 18 years, the lipid-lowering therapy used in these patients, and the lipid goals reached in real life. Our aim was to evaluate the achievement of low-density lipoprotein cholesterol (LDL-C) treatment goals in FH patients younger than 18 years enrolled in a large national registry.

Methods: We analyzed patients younger than 18 years enrolled in a large ongoing registry of molecularly-defined patients with FH in Spain. The attainment of guideline-recommended plasma LDL-C goals at entry and follow-up was analyzed in relation to the use of lipid-lowering therapy.

Results: We enrolled 392 individuals younger than 18 years. Of these, 217 were molecularly-diagnosed FH patients and had a complete follow-up. The median follow-up time was 4.69 years (interquartile range, 2.48-6.38 years), 68.2% of FH patients were on statins, and 41.5% patients had LDL-C < 130 mg/dL. Statin use was the only predictor of LDL-C goal attainment.

Conclusions: This study shows that a high proportion of FH patients younger than 18 years have high LDL-C levels and fail to achieve recommended LDL-C targets. Statin use was the only independent predictor of LDL-C goal achievement. No safety concerns were detected during follow-up. These results indicate that many FH patients are not adequately controlled and that there is still room for treatment improvement.

Full English text available from: www.revespcardiol.org/en

© 2016 Sociedad Española de Cardiología. Published by Elsevier España, S.L.U. All rights reserved.

Abreviaturas

cHDL: colesterol unido a lipoproteínas de alta densidad
cLDL: colesterol unido a lipoproteínas de baja densidad
ECVA: enfermedad cardiovascular aterosclerótica
HF: hipercolesterolemia familiar
THL: tratamiento hipolipemiente

INTRODUCCIÓN

La hipercolesterolemia familiar (HF) heterocigota es un trastorno genético frecuente que se asocia a enfermedad cardiovascular aterosclerótica (ECVA) prematura. Los niños con una HF no tratada presentan un aumento del riesgo de ECVA prematura a partir de los 20 años de edad¹. La elevación intensa de las concentraciones de colesterol unido a lipoproteínas de baja densidad (cLDL) empieza ya en el feto y conduce a una continua exposición de la pared arterial al cLDL, que acelera el depósito de colesterol y la inflamación vascular y predispone a un inicio temprano de la aterosclerosis, en especial en las arterias coronarias y la aorta.

Las estatinas y otros tratamientos hipolipemiantes (THL) reducen de manera efectiva el cLDL, son seguros para niños y adolescentes y restablecen la función endotelial a una edad temprana²⁻⁴. Recientemente, se ha propuesto un cribado universal de los niños a partir de los 2 años y hasta los 8^{5,6} para detectar a los que necesitan tratamiento. Sin embargo, este enfoque se basa en consideraciones teóricas y no se ha demostrado su eficacia en la práctica clínica real.

No obstante, se sabe poco sobre las características de los pacientes con HF de menos de 18 años, el THL utilizado en estos pacientes y los objetivos lipídicos que se alcanzan en la práctica clínica real. La falta de información es aún mayor por lo que respecta a los datos de seguimiento. Los registros nacionales pueden usarse para obtener esta información crucial para mejorar los modelos de asistencia de la HF, los protocolos terapéuticos y las políticas de salud^{7,8}. El estudio SpAnish Familiar Hypercholesterolemia Cohort Study (SAFEHEART) (NCT02693548) se diseñó para mejorar el conocimiento sobre los factores pronósticos y los mecanismos que influyen en la aparición de la ECVA y la mortalidad en una población con HF.

El objetivo del presente estudio es analizar las características de los pacientes y evaluar el THL y los objetivos lipídicos en el momento de la inclusión y durante el seguimiento en los pacientes con HF menores de 18 años incluidos en el estudio SAFEHEART y determinar los factores que predicen la probabilidad de alcanzar esos objetivos.

MÉTODOS

Diseño y población del estudio

El SAFEHEART es un estudio de cohorte prospectivo, abierto, multicéntrico, de ámbito nacional y a largo plazo, en una población de pacientes de España con HF definida molecularmente. La identificación de los participantes de familias con HF se inició en 2004 y sigue en marcha. Los criterios de inclusión fueron los de casos índice con un diagnóstico genético de HF y sus familiares mayores de 15 años con un diagnóstico genético de HF, así como los familiares sin un diagnóstico genético e HF (grupo de control). No obstante, se incluyó también a participantes menores de 15 años si sus padres lo solicitaban. Este estudio fue aprobado por los comités de ética locales. Todos los individuos aptos o al menos 1 de sus progenitores o tutores legales dieron el consentimiento informado por escrito. La gestión del seguimiento de los participantes corrió a cargo de un centro de coordinación situado en Madrid. Se contactó con los pacientes o sus progenitores una vez al año mediante una llamada telefónica estandarizada, para registrar los cambios de interés en sus hábitos de modo de vida y en las medicaciones, así como cualquier evento cardiovascular u otro problema médico. Los médicos participantes que incluyeron a los pacientes y sus familias en el registro recibieron formación, según las guías de práctica clínica y con el apoyo de reuniones anuales a las que asistieron médicos expertos en este campo; además, se utilizó un programa electrónico y un sistema de consulta telefónica y se aplicó un programa de formación a través de Internet para respaldar el tratamiento en caso necesario. Las decisiones de tratamiento las tomó exclusivamente el médico de cada paciente.

Determinaciones clínicas y analíticas

Se registraron las características demográficas y clínicas según lo descrito en otra publicación⁹. Las muestras de sangre se

Download English Version:

<https://daneshyari.com/en/article/5620650>

Download Persian Version:

<https://daneshyari.com/article/5620650>

[Daneshyari.com](https://daneshyari.com)