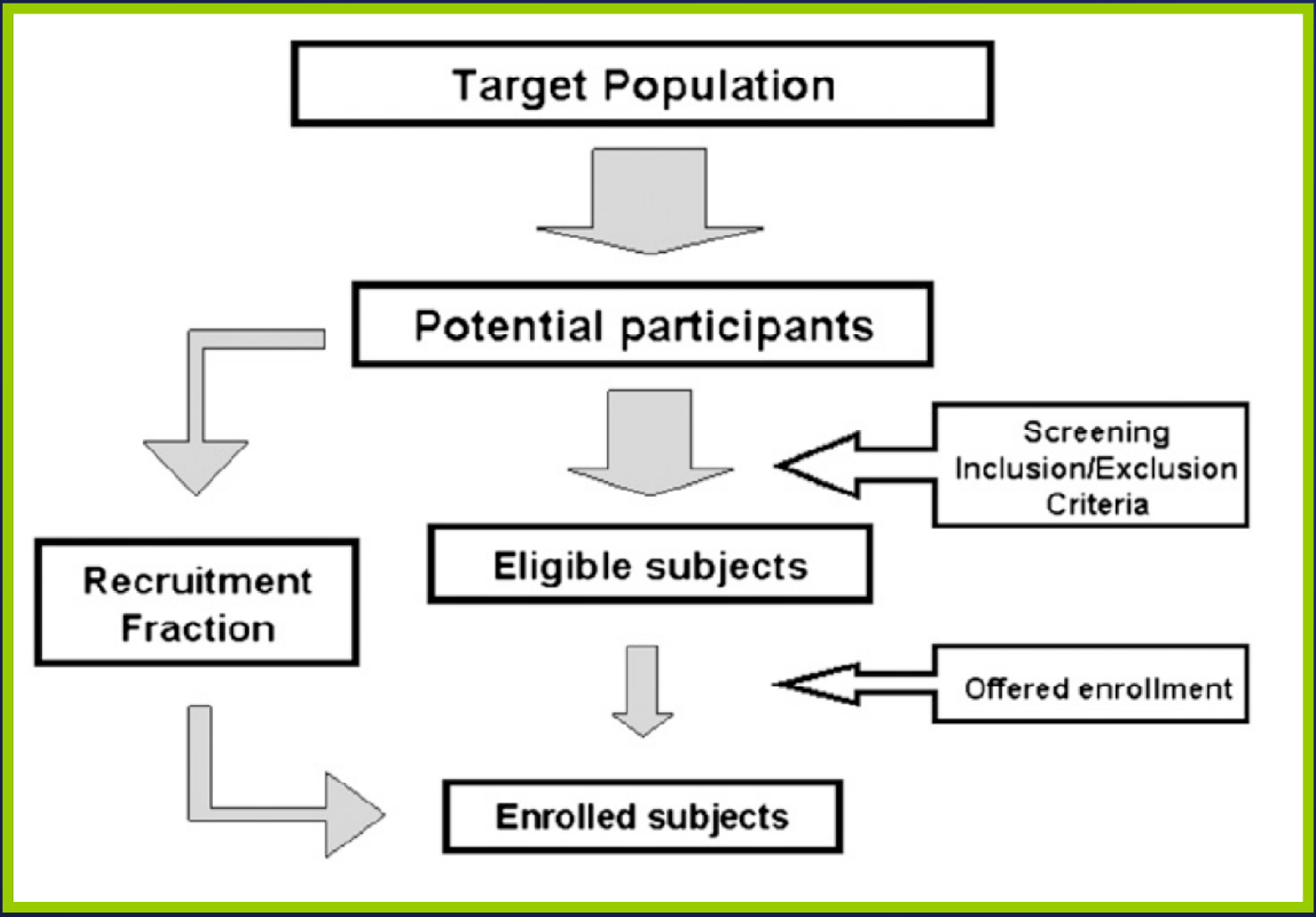
E. Goncalvesová,M. Luknár v mene rady SlovPAH

Dg a liečba PAH na Slovensku a ďalšie smerovanie v budúcnosti

Randomizované klinické štúdie a PAH



Hill NS, et al. Proceedings of the ATS, 2008

RKŠ: PAH vs. STEMI

Study (Reference No.)	Study Design
Epoprostenol (5)	Open label 12 wk 81 patients
Treprostinil, subcutaneous (6)	RCT 12 wk 470 patients
Bosentan (7) BREATHE 1	RCT 16 wk 213 patients
Iloprost (8) AIR	RCT 12 wk 203 patients
Beraprost (9)	RCT 52 wk 116 patients
Sitaxsentan (10) STRIDE 1	RCT 12 wk 178 patients
Sildenafil (11) SUPER 1	RCT 12 wk 278 patients
Ambrisentan (12) ARIES 1 and 2	RCT 12 wk 393 patients
Iloprost + bosentan (13) COMBI	RCT 12 wk 67 patients
Sildenafil + epoprostenol (14) PACES	RCT 16 wk 267 patients
Bosentan + sildenafil (15) EARLY	RCT 6 mo 185 patients

PLATO randomized 18,624 patients who were hospitalized with ACS with or without ST-segment elevation to ticagrelor (180-mg loading dose, 90 mg twice-daily thereafter) or clopidogrel (300-mg to 600-mg loading dose, 75 mg thereafter) in a double-blinded fashion and treated for up to 12 months. All patients were treated with background therapy of aspirin 75 to 100 mg/day. The primary efficacy endpoint was a composite of CV death, myocardial infarction (MI), or stroke. The primary safety endpoint was major bleeding as defined by the trial.

MD Conference Express, 2009

(2451)

Hill NS, et al. Proceedings of the ATS, 2008

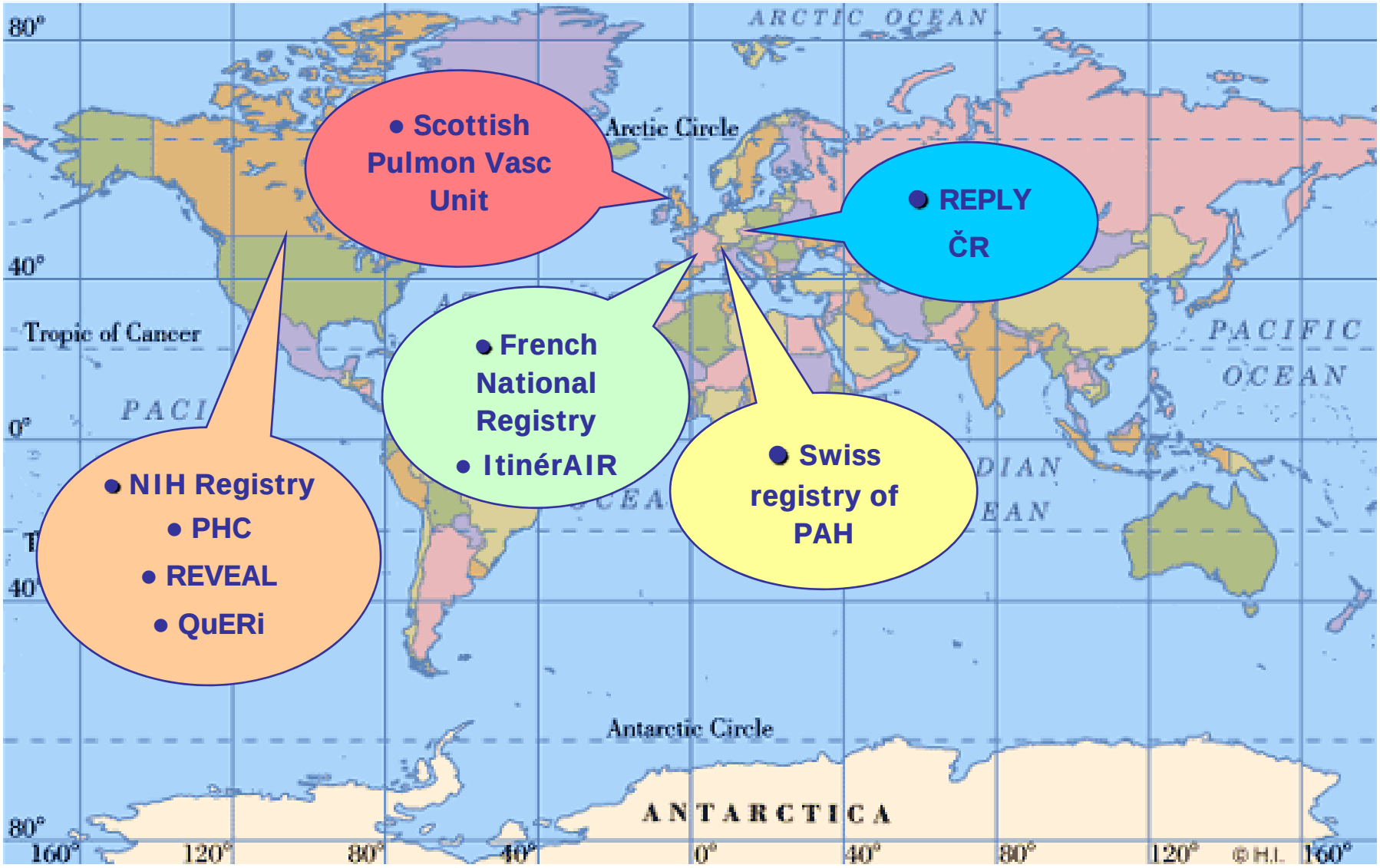
- **Význam údajov z reálneho života**
- **Registre** = epidemiologické prospektívne otvorené observačné (= neintervenčné) štúdie
  - Epidemiologické a demografické údaje
  - Zloženie pacientov – dg
  - Liečba
    - Druh
    - Iniciálna liečba
    - Kombinácie
  - Osud pacientov

Registrové štúdie

+	−
▪ celé spektrum pacientov	▪ závislosť od zadávateľa
▪ sledovanie veľkého počtu pacientov	▪ bias v súvislosti s klinickým úsudkom
▪ inkorporácia nových postupov	▪ ekonomická a časová náročnosť
▪ potenciálna detekcia vzácnych príhod	▪ vyžaduje si prehodnocovanie kvality

upravené podľa Brown ML *et al*. (2008) From randomized trials to registry studies: translating data into clinical information *Nat Clin Pract Cardiovasc Med* doi:10.1038/ncpcardio1307

Národné registre PAH vo svete

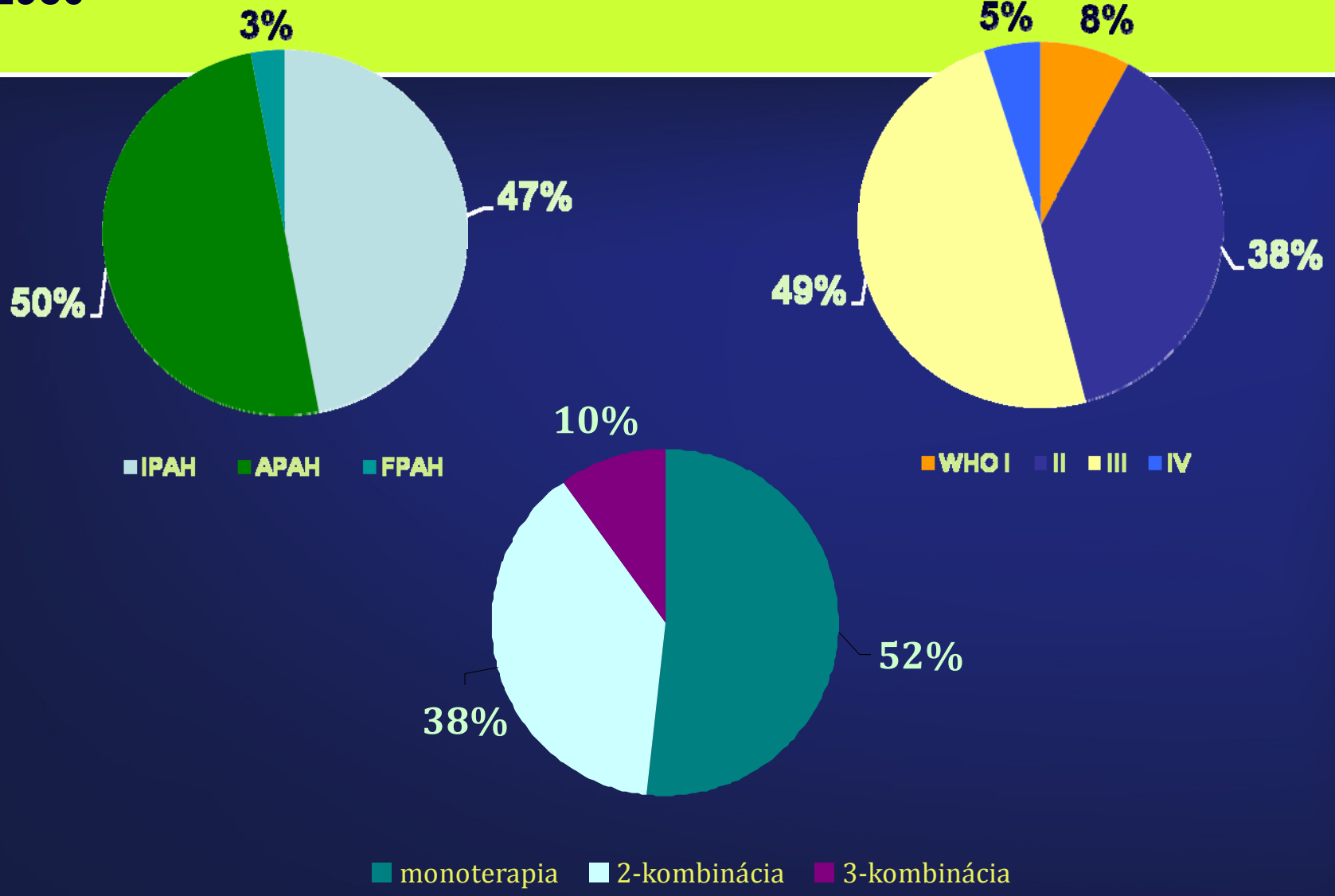


Register REVEAL

- multicentrická prospektívna observačná štúdia klinického priebehu a terapeutického manažmentu PAH
- vstupné kritériá:
  - súhlas
  - PH v triede I Benátskej klasifikácie
  - mPAP ≥25 (resp. 30) mmHg, PVR ≥3 W.j., PCWP ≤18 mmHg
- vek: 3 mesiace a viac
- bez ohľadu na doterajšiu špecifickú liečbu
- sledovanie: 5+ rokov
- súbor: 3 500 pacientov
- 56 centier rôzneho typu v USA
- zaraďovanie 3/2006 – 2009

Register REVEAL

n=2980

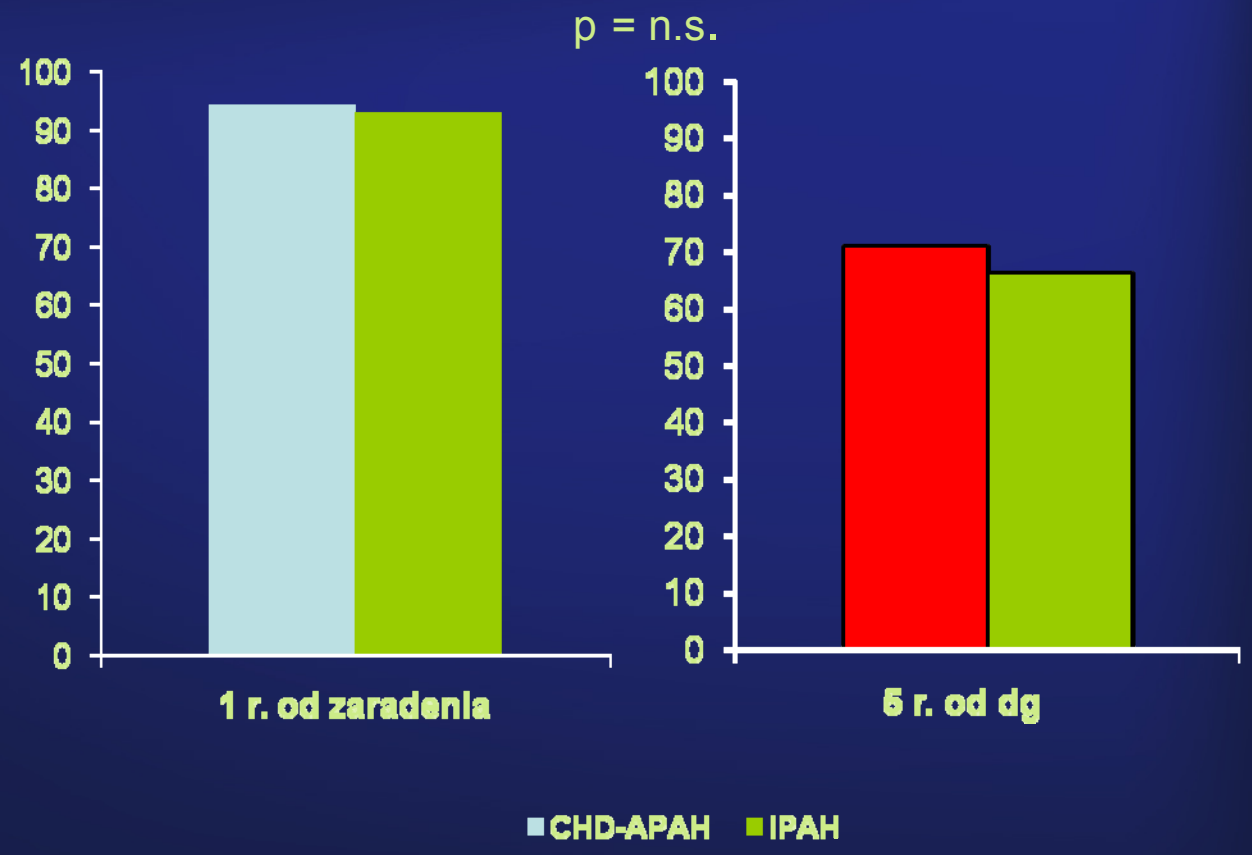


ERS Viedeň 2008

REVEAL: CHD–APAH vs. IPAH: prežívanie

n = 2967
3/2006-9/2007

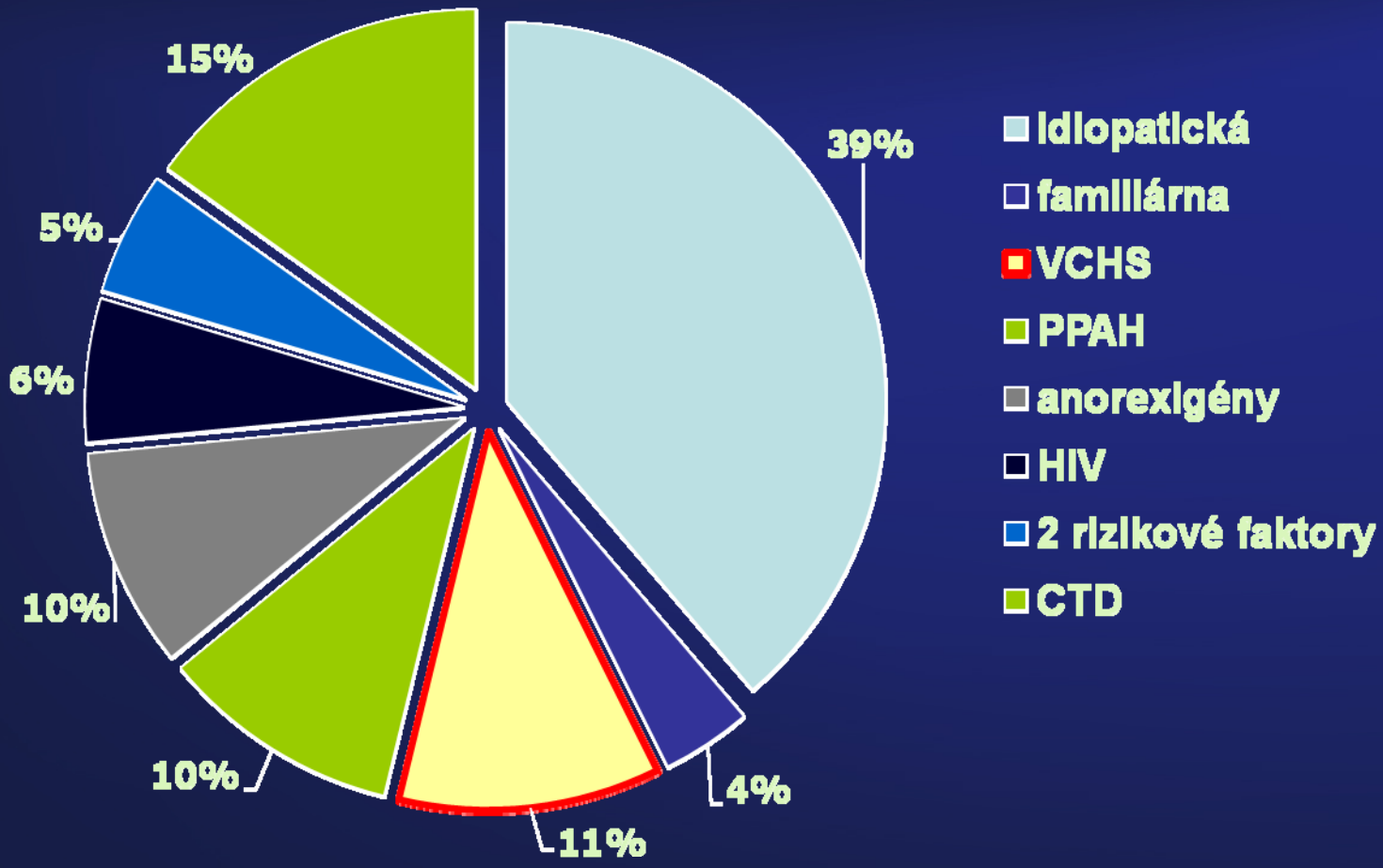
Vstupné charakteristiky	CHD – APAH	IPAH
N	340	1378
Vek (r.)	39	51
ERA (%)	55	46
PGI_2 (%)	33	46



Barst et al., Am J Respir Crit Care Med 179;2009:A2656

Zloženie PAH

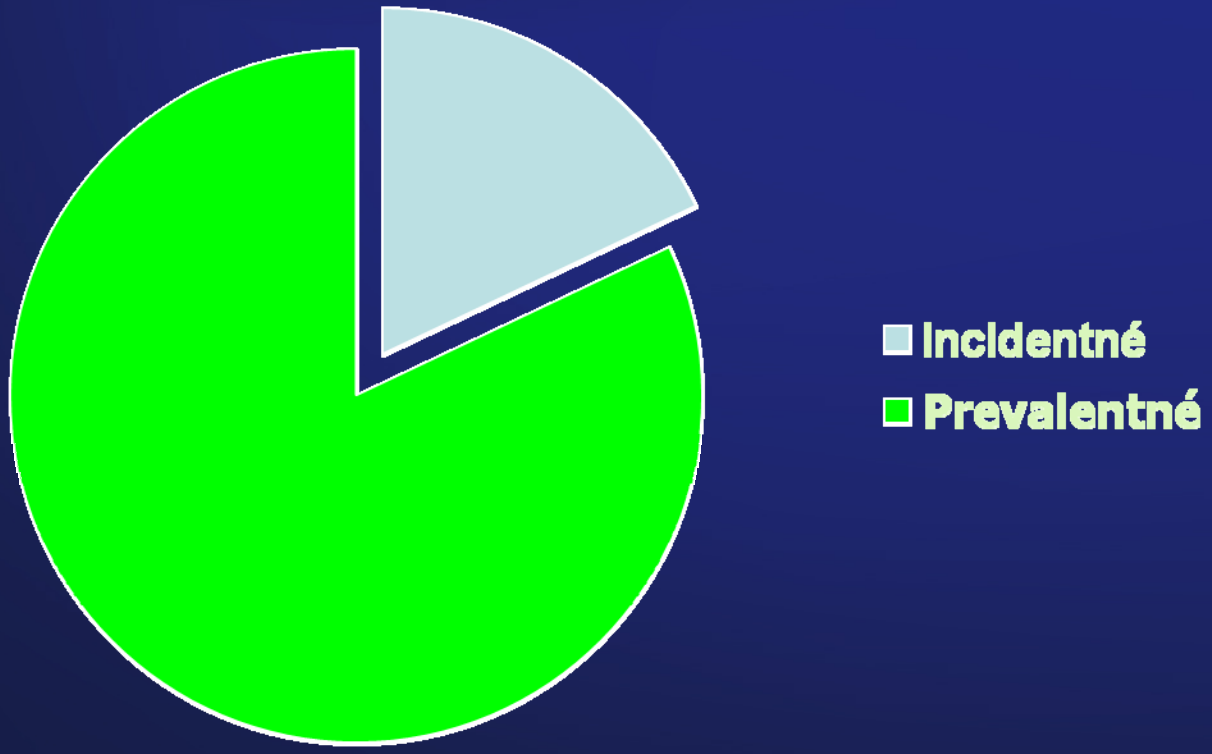
francúzsky register
n = 674



Humbert et al., Am J Resp Crit Care Med, 2006

Zloženie PAH

francúzsky register
n = 674



Humbert et al., Am J Resp Crit Care Med, 2006

Situácia v SR 2009

- Celkový počet pacientov: ?
- Demografia (vek, pohlavie...)
- Pokročilosť ochorenia
- Typ liečby
- Osud pacientov

Bratislava

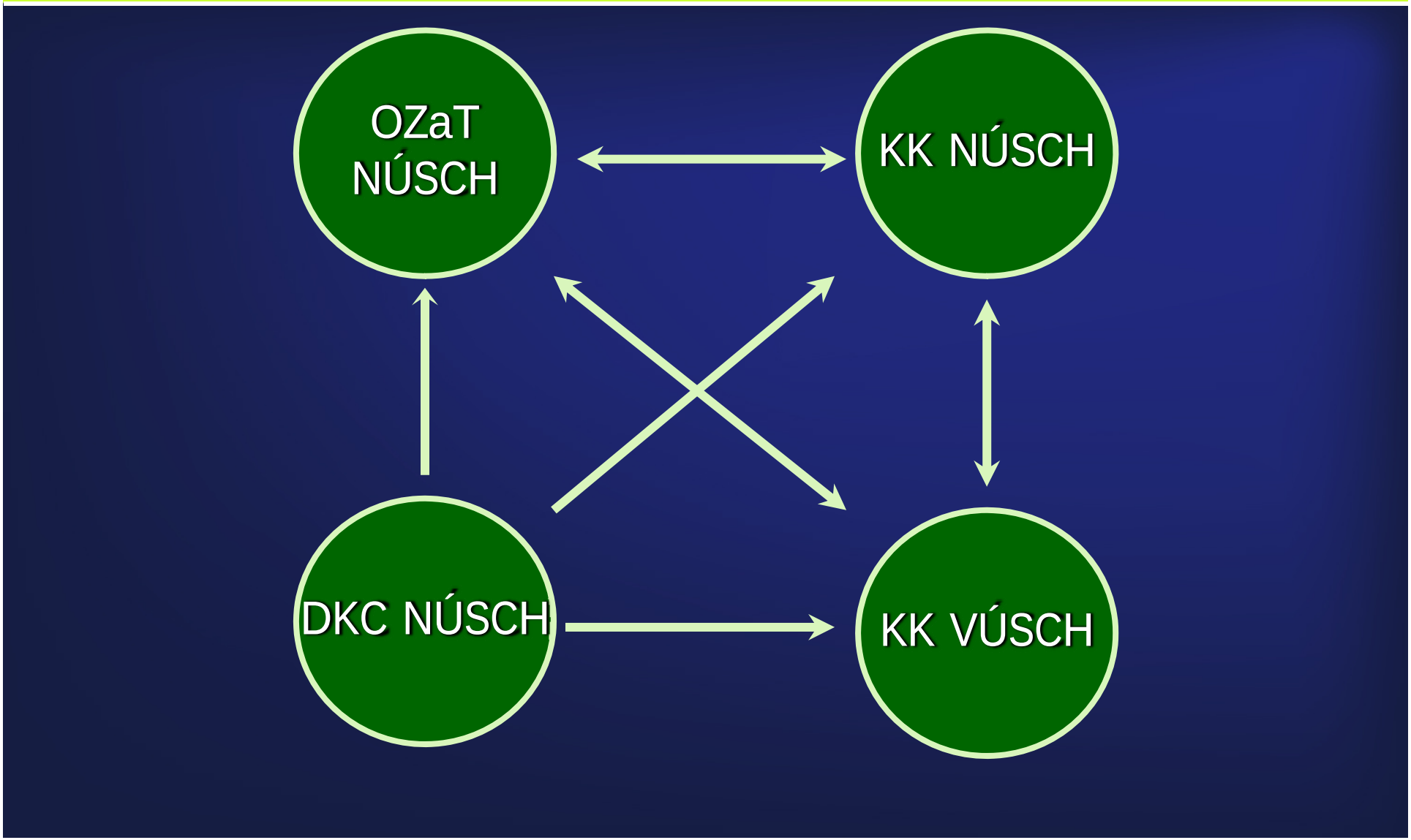
NÚSCH

Odd. zlyhávania a transplantácie srdca	Klinika kardiológie	Detské kardiocentrum
E. Goncalvesová	*I. Šimková*	*M.Hrebík*

Klinika kardiológie

M. Studenčan

„Tok pacientov“



Kritériá zaradenia do registra

- Aby bol kompletný a výpovedný:

- konzekutívni pacienti vyhovujúci kritériám PAH podľa Odporúčaní ESC
- s jednoznačnou diagnózou potvrdenou pravostrannou srdcovou katetrizáciou
- od 1.9.2005

Slovenský register PAH: účely

- Primárny: medicínske aspekty
- Sekundárny: administratívne náležitosti
  - vytvorenie a tlač protokolu
  - vytvorenie a tlač žiadosti pre poisťovňu
  - organizér

Fázy prípravy slovenského registra PAH

Idea	2007
Základná príprava a úprava softwaru	3/2008 – 9/2009
1. stretnutie zainteresovaných odborníkov	11. 9. 2009
Inicializácia centier	10/2009
Pripomienkovanie používateľmi	11-12/2009
Používanie a aktualizácia	11/2009

1/2010

2/2010

2-3/2010

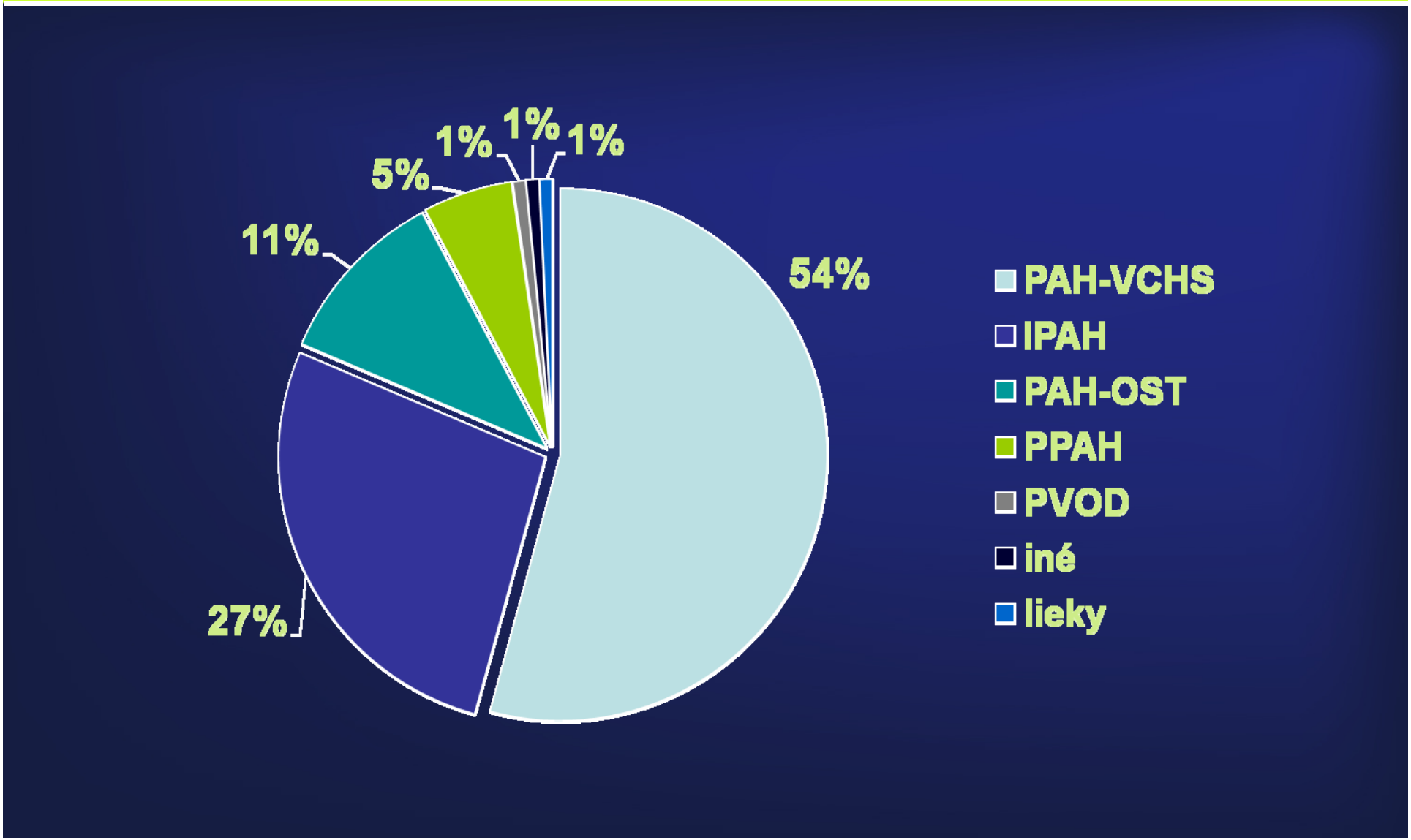
2/2010

Vedecká rada registra

- Doc. MUDr. Eva Goncalvesová, CSc.
- prim. MUDr. Marián Hrebík, MPH
- doc. MUD. Martin Studenčan, PhD.
- Prof. MUDr. Iveta Šimková CSc.
- MUDr. Milan Luknár *výkonný manažér*

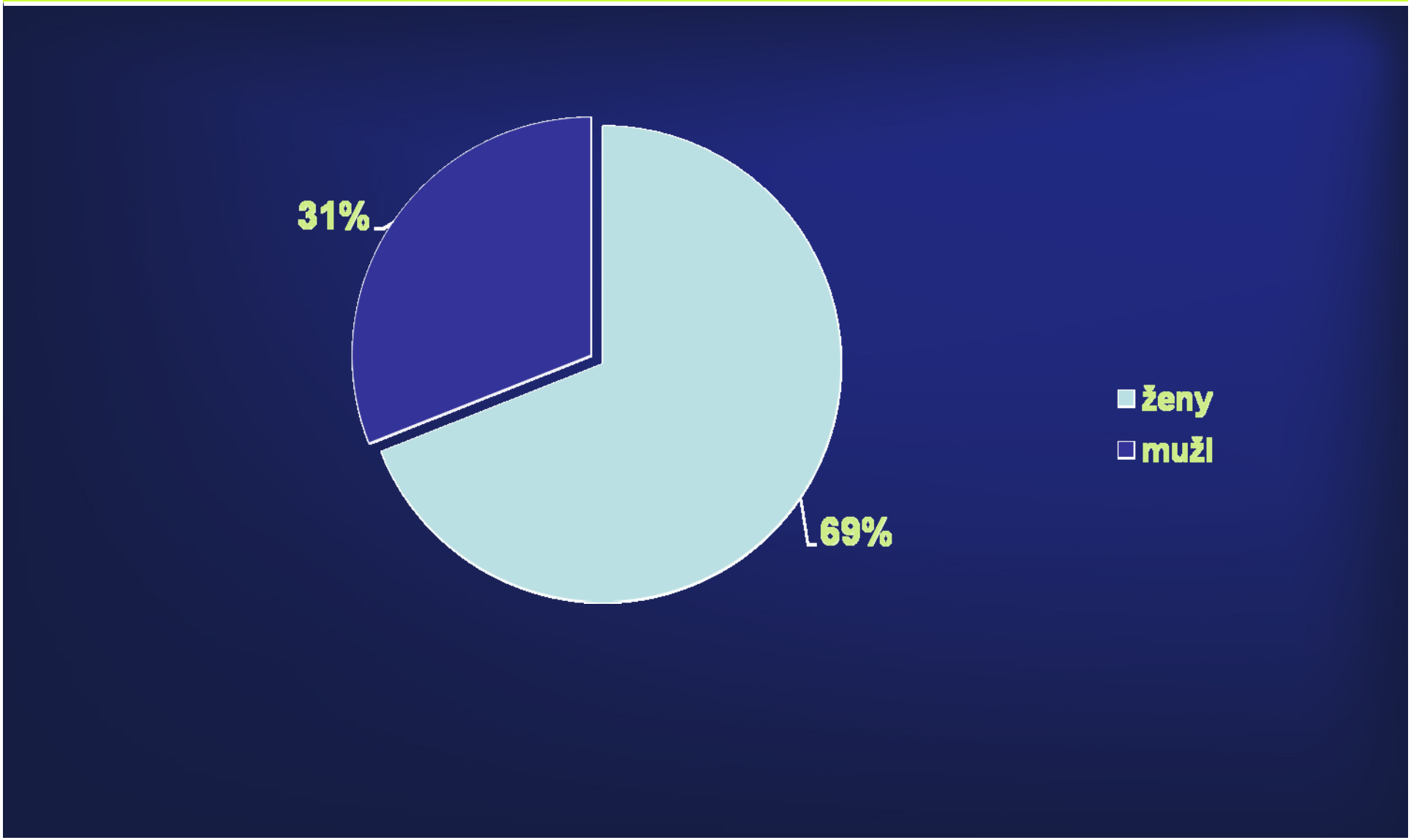
Etiológia PAH

n=129



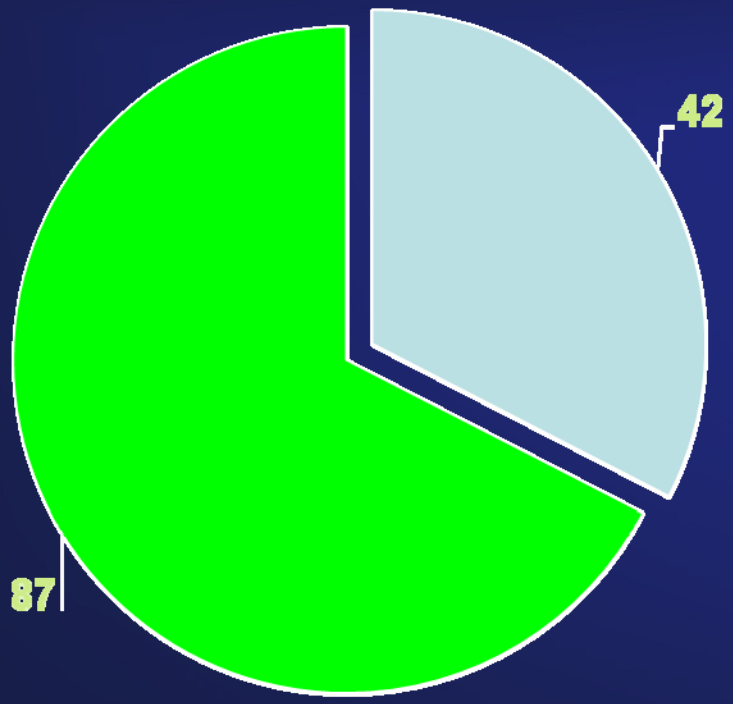
Ženy/muži

spolu, n=129 (89/40)



Incidentné vs. prevalentné prípady PAH

od 1. 9. 2005

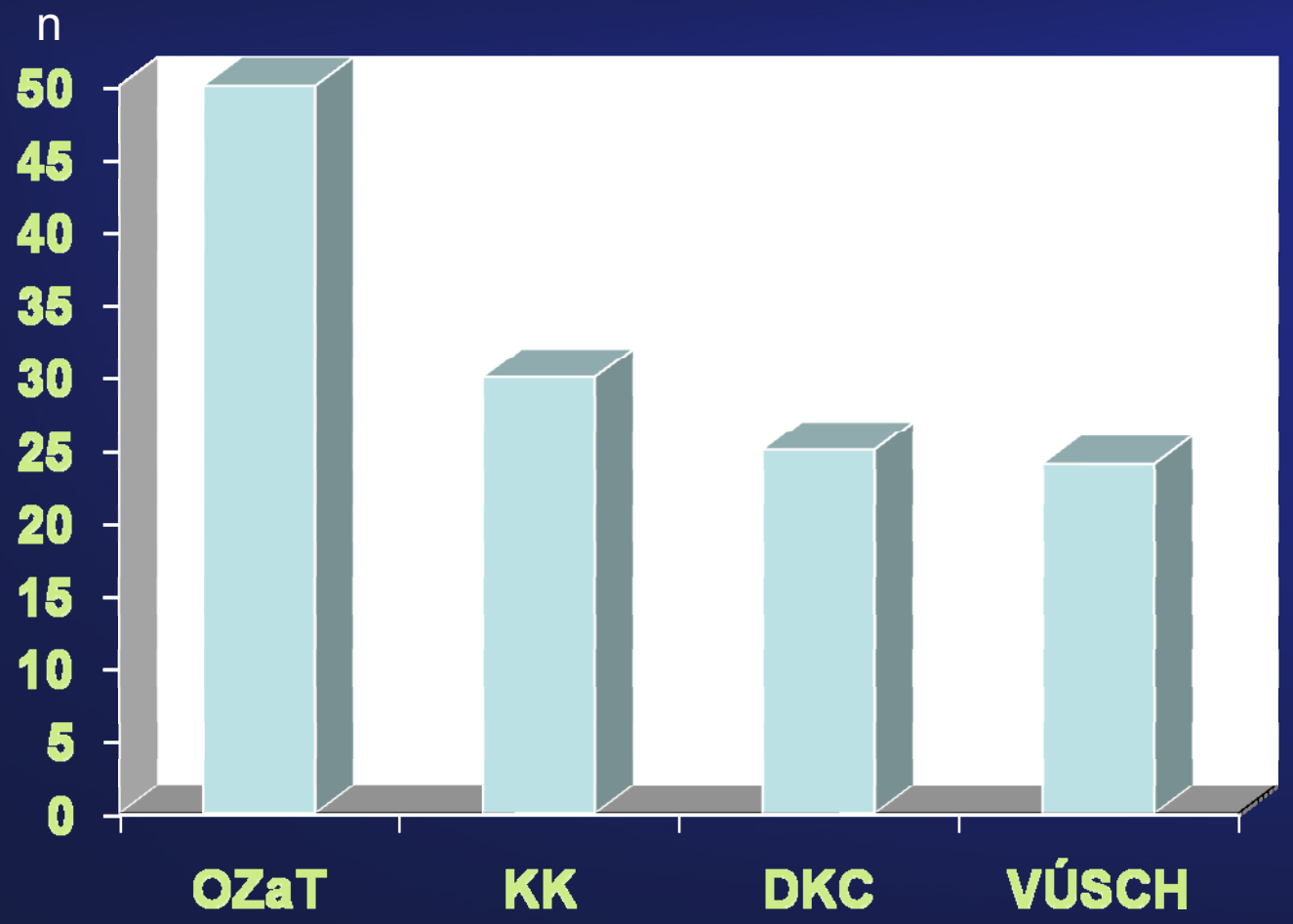


Incidencia
1,5 /mil obyv/rok

Prevalencia k 30.09
19/mil.obyv

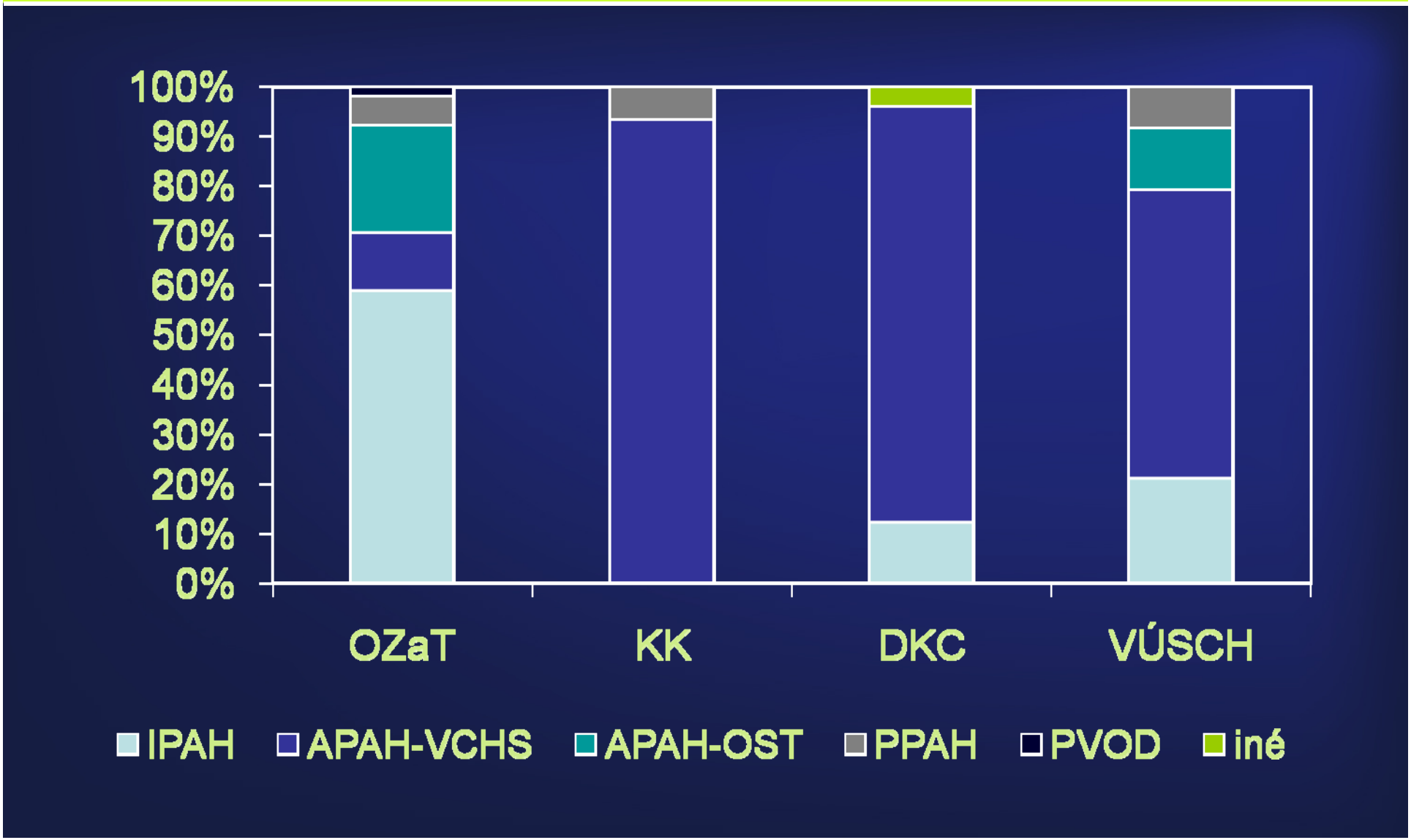
Počet/centrum (unikátni pacienti)

(v súčasnosti, resp. naposledy pri +, n= 129



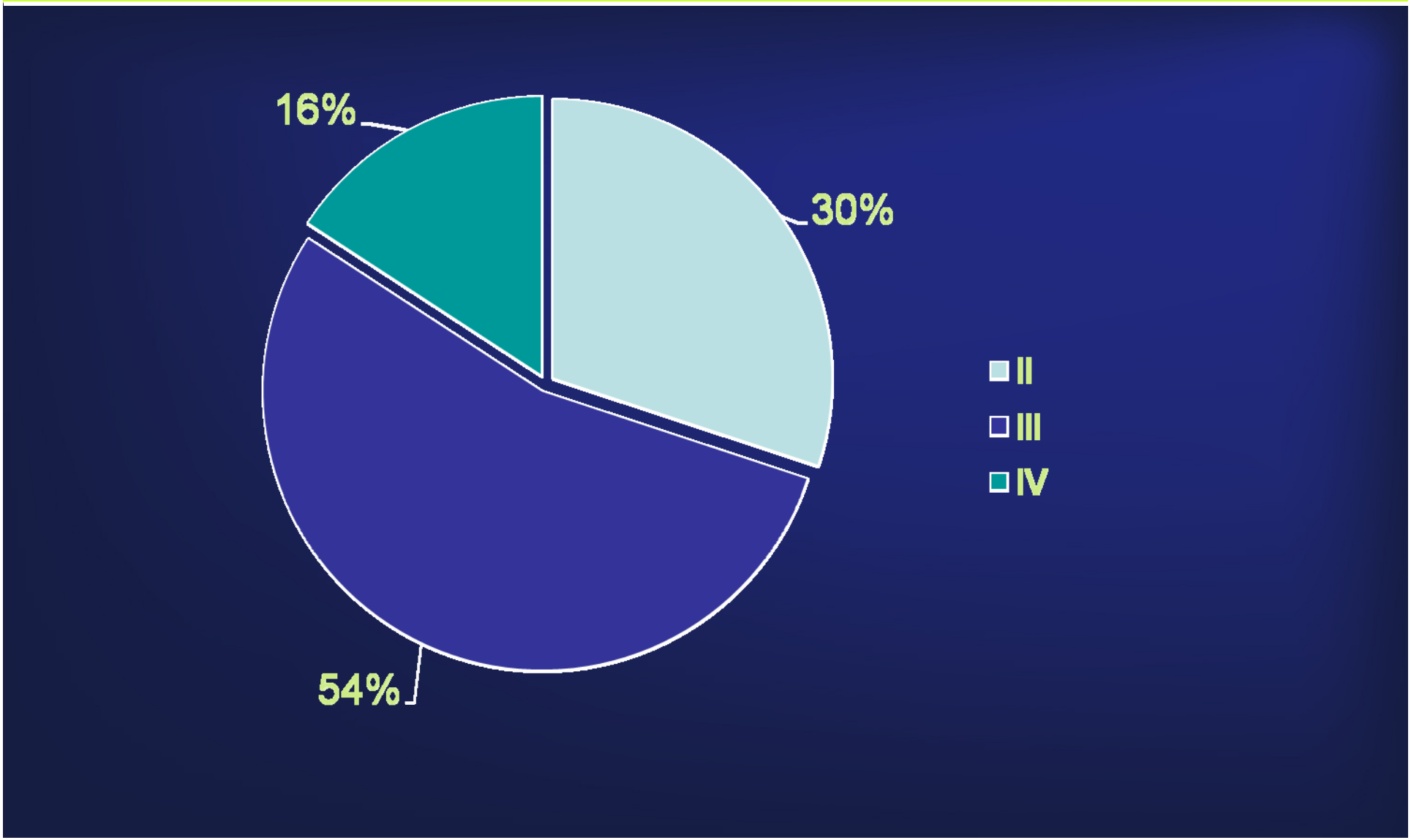
Zloženie pacientov/centrum

n=129



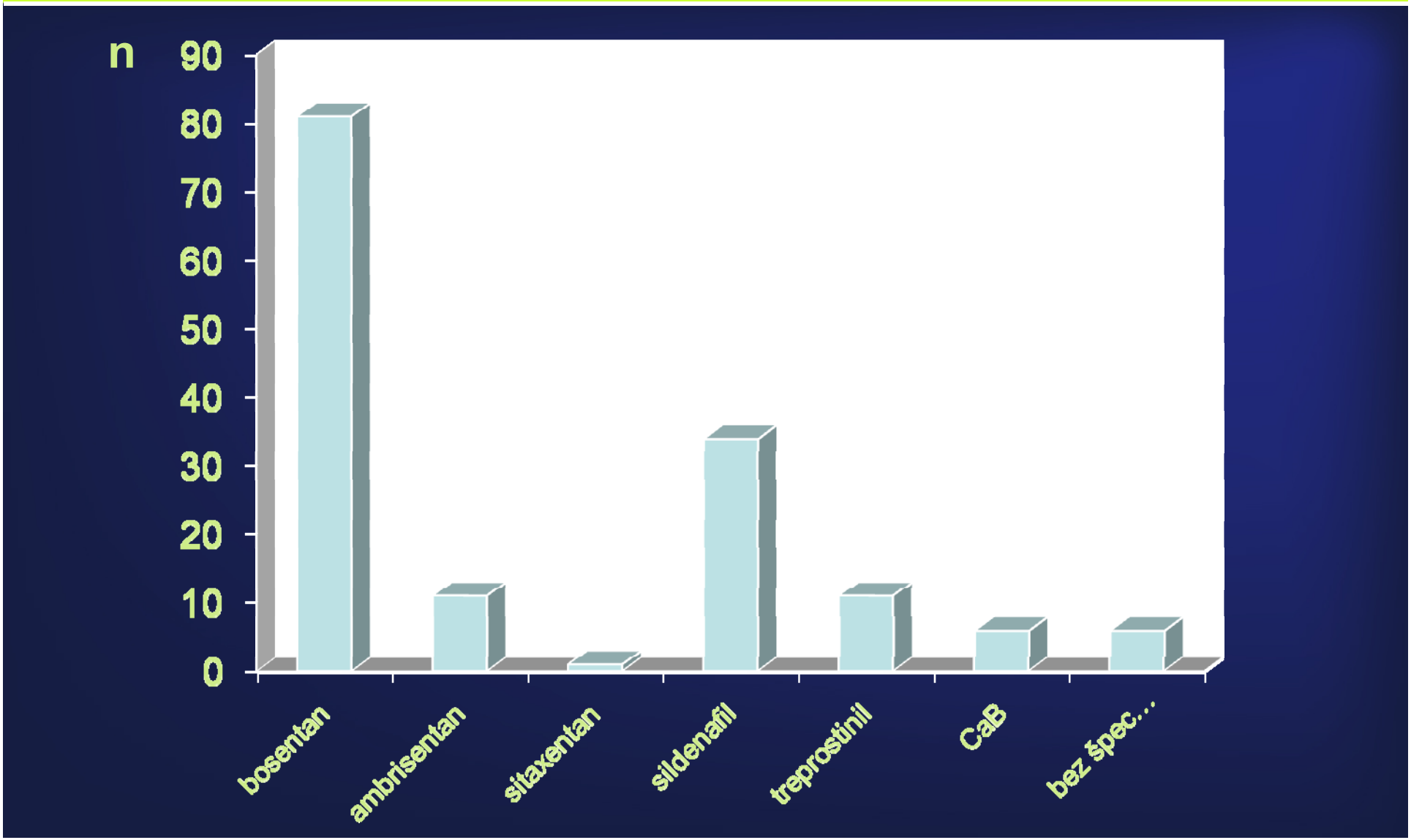
Funkčná trieda pri vstupnom vyšetrení

n=129



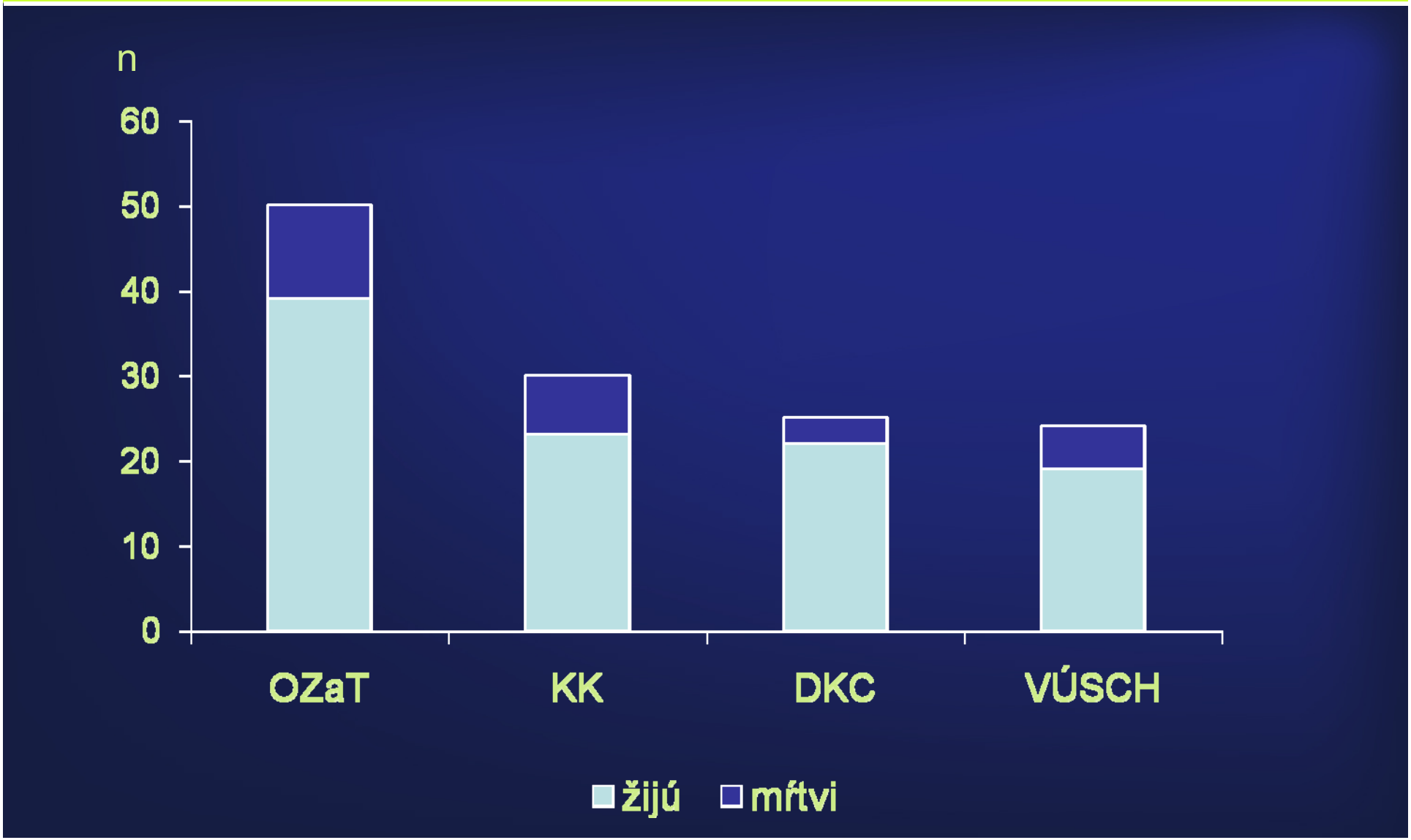
Cielená liečba - SR

n= 129



Záver

- Slovensko sa zaradilo na mapu Európy
- Prevalencia vysoká (vrodené chyby)
- Indicencia nižšia ?
- Diagnóza oneskorená
- Liečba vyspelá
- Rezervy v edukácii a screeningu

Žijúci vs. mŕtvi

n=129