

Cardiomyopathy and kidney function in agalsidase beta-treated female Fabry patients: a pre-treatment vs. post-treatment analysis

Agalsidase beta 치료를 받은 여성 파브리병 환자의 심근병증 및 신장 기능: 치료 전과 치료 후 비교 분석

Wanner C, *et al. ESC Heart Fail*. 2020 Jun;7(3):825-834.

다운로드 이메일로 전송

Key messages

- **여성 파브리병 환자에서 agalsidase beta 치료는 심근병증의 추가 진행을 억제하고, 신장 기능을 정상적으로 유지하는 데 기여할 수 있습니다.**

Introduction

- Registry 연구에 따르면, **여성 파브리병 환자**에서 **좌심실 비대(LVH), 파브리 신장병증, 허혈성 뇌졸중이 흔하게 나타나며**, 남성 환자와 마찬가지로 **파브리병 관련 심혈관 질환이 주요 사망 원인**으로 보고되고 있습니다.
- **효소대체요법(ERT; agalsidase beta)**에 대한 대부분의 기존 연구는 주로 남성 파브리병 환자를 중심으로 임상 결과를 보고해 왔으며, **여성 환자에서의 치료 효과에 대한 데이터는 상대적으로 제한적**입니다.
- 이에 본 연구는 Fabry Registry에 등록된 **성인 여성 환자를 대상으로 심근병증과 신장 기능을 평가하고, agalsidase beta 치료 시작 전후의 결과를 비교**하고자 하였습니다.

Methods

- **연구 방법:** Fabry Registry* 데이터 기반으로 분석(1998-2018년)
- **연구 대상:** Fabry Registry에 등록된 만 18세 이상 여성 환자 중, agalsidase beta를 첫 ERT로 시작하고 허가 용량인 1 mg/kg 격주 투여에 근접한 평균용량(0.9–1.1 mg/kg, 격주투여)을 최소 2년 이상 치료 받은 환자
- **평가지표:** LVPWT, IVST 및 eGFR

*Fabry Registry: 2001년에 시작된 다기관, 다국가, 종단적 관찰 연구 프로그램으로, 파브리병 환자의 자연 경과와 치료 결과를 모니터링하기 위해 설계됨

Results

- **Patient demographics**

- **LVPWT/IVST 분석**

- 성인 여성 503명 중, **42명(8.3%)이 포함**
- 진단 시 연령 중앙값: 36.5세, **치료 시작 시 연령 중앙값: 50.0세**
- 진단부터 치료 시작까지의 기간 중앙값: 9.0년
- 추적 관찰 기간 중앙값: 치료 전 3.5년, 치료 후 3.6년

- **eGFR 분석**

- 성인 여성 환자 629명 중 **86명(13.7%)이 포함**
- 진단 시 연령 중앙값: 35.1세, **치료 시작 시 연령 중앙값: 46.3세**
- 진단부터 치료 시작까지의 기간 중앙값: 5.8년
- 추적 관찰 기간 중앙값: 치료 전 3.6년, 치료 후 4.1년

- 최종 분석에 포함된 여성 환자 중, LVPWT/IVST 분석에서는 47.6%, eGFR 분석에서는 53.5%가 전형적인 파브리병과 관련된 GLA 변이를 보였으며, 나머지 52.4%와 46.5%는 분류되지 않았거나 보고되지 않은 변이를 보였습니다.

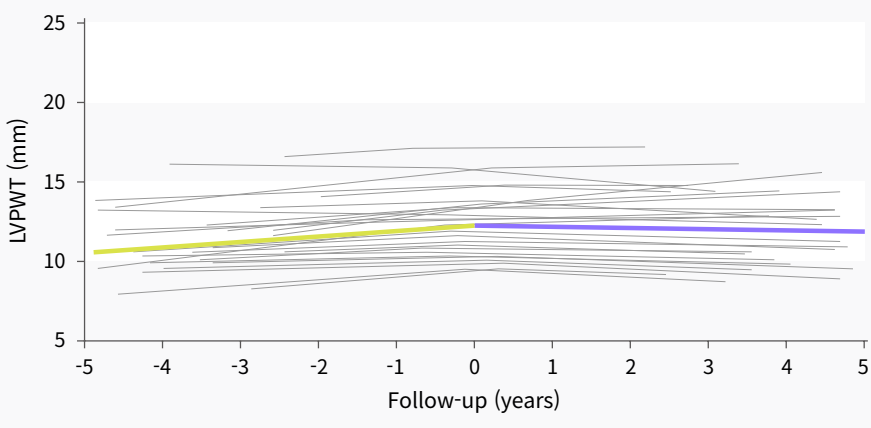
- **Echocardiographic variables of cardiomyopathy**

- Echocardiographic data가 이용 가능한 파브리병 환자(N=38)에서 **LVPWT 및 IVST는 치료 전에는 증가하는 양상**을 보였으나, **agalsidase beta 치료 후에는 안정적으로 유지**되었습니다.

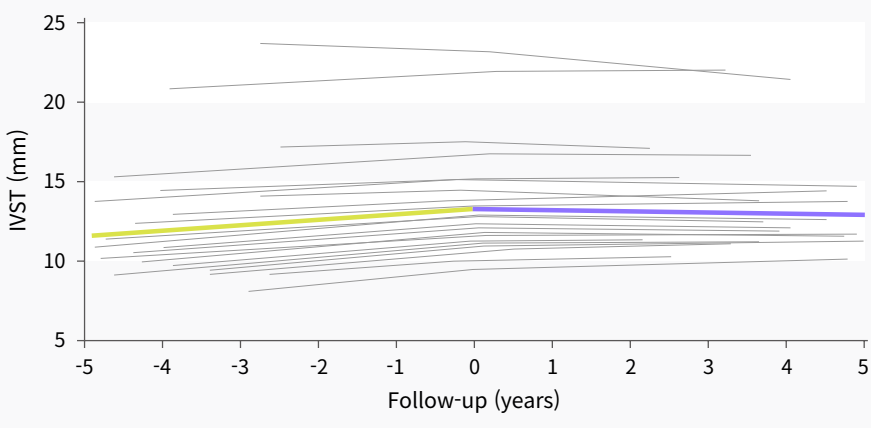
- **LVPWT 변화 기울기**는 치료 전(green) 0.28 mm/year ($P < 0.01$), 치료 후(purple) −0.13 mm/year ($P = 0.13$)이었으며, **치료 전후 차이는 −0.41 mm/year ($P < 0.01$)**이었습니다.

- **IVST 변화 기울기**는 치료 전 0.33 mm/year ($P < 0.01$), 치료 후 0.01 mm/year ($P = 0.93$)이었으며, **치료 전후 차이는 −0.32 mm/year** ($P = 0.07$)이었습니다.

Agalsidase beta 치료 전/후의 추정 LVPWT 변화 기울기 (N = 38)



Agalsidase beta 치료 전/후의 추정 IVST 변화 기울기 (N = 38)

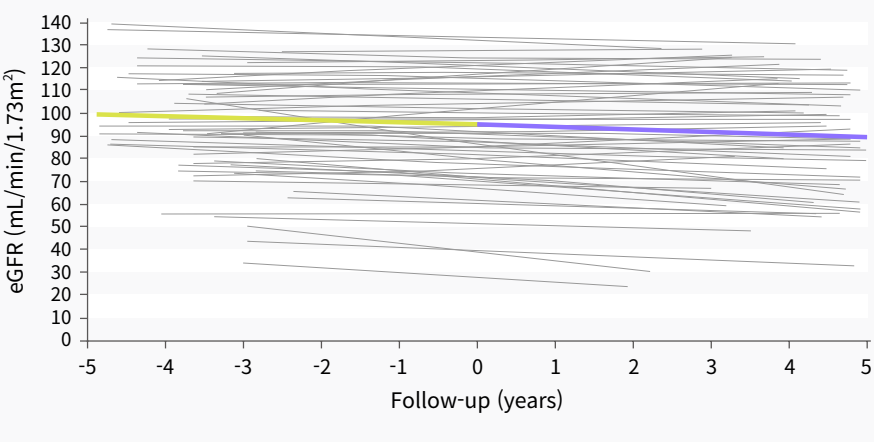


- **Kidney function**

- **eGFR 감소는 치료 기간 동안 완만했으며 정상 범위 내에서 안정적으로 유지되었습니다.**

- **eGFR 변화 기울기**는 치료 전 −0.83 mL/min/1.73 m^2/year ($P = 0.02$), 치료 후 −0.95 mL/min/1.73 m^2/year ($P < 0.01$)이었으며, **치료 전후 차이는 −0.13 mL/min/1.73m^2/year** ($P = 0.80$)로 나타났습니다.

Agalsidase beta 치료 전/후의 추정 eGFR 변화 기울기 (N = 86)



Conclusions

- 여성 파브리병 환자에서 치료 전 추적 기간 동안 진행되던 **심장 비대는 agalsidase beta 치료 이후 안정화되는 양상을 보였으며, eGFR 감소 역시 정상 범위 내에서 유지**되었습니다.
- 이러한 결과는 **agalsidase beta 치료**가 여성 파브리병 환자에서 **심근병증의 추가적인 진행을 억제하고, 신장 기능을 정상적으로 유지**하는 데 기여할 수 있음을 시사합니다.

Abbreviation

eGFR, estimated glomerular filtration rate; **ERT**, enzyme replacement therapy; **GLA**, galactosidase alpha; **IVST**, interventricular septal thickness; **LVH**, left ventricular hypertrophy; **LVPWT**, left ventricular posterior wall thickness

Reference

Wanner C, *et al.* Cardiomyopathy and kidney function in agalsidase beta-treated female Fabry patients: a pre-treatment vs. post-treatment analysis. *ESC Heart Fail*. 2020 Jun;7(3):825-834.

제품을 처방하기 전에 반드시 국내 허가사항을 확인하시기 바랍니다.

파브라자임주35밀리그램(아갈시다제베타) (문안개정년월일 2020.06.02)

MAT-KR-2600867-1.0-05/2026