Protocole National de Diagnostic et de Soins (PNDS)

Neuropathie Amyloïde Héritaire à Transthyrétine (NAH-TTR)

ARGUMENTAIRE

Centre de Référence des Maladies Rares
« Neuropathies Périphériques Rares »
CHU Bicêtre

université
PARIS-SACLAY

ASSISTANCE
PUBLIQUE

HÔPITAUX
DE PARIS

Filnemus
Filière Neuromusculaire

Cet argumentaire a été élaboré par le centre de référence des maladies rares du CHU de Bicêtre.
Il a servi de base à l'élaboration du PNDS
« Neuropathie Amyloïde Héritaire à Transthyrétine (NAH-TTR) ».

Sommaire.

Liste des abréviations	04
Préambule	05
Argumentaire	06
Annexe 1. Recherche documentaire & sélection des articles	14
Annexe 2. Liste des participants	15
Références bibliographiques	16

Liste des abréviations.

ARNi	ARN interférentiel
ASO	Oligonucléotide antisens
BMI	<i>Body Mass Index</i>
Cas9	<i>CRISPR associated protein 9</i>
CRISPR	<i>Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats</i>
IV	Intra-veineux
mNIS	<i>Modified NIS</i>
NA	<i>Not applicable</i>
NAH-TTR	Neuropathie amyloïde héréditaire à transthyrétine
NIS	<i>Neuropathy Impairment Score</i>
NDS	<i>Neuropathy deficit score</i>
NYHA	<i>New-York Heart Association</i>
QOL-DN	<i>Quality of Life-Diabetic Neuropathy</i>
ONLS	<i>Overall Neuropathy Limitations Scale</i>
PNDS	Protocole National de Diagnostic et de Soins
TTR	Transthyrétine

Préambule.

Le PNDS sur la Neuropathie Amyloïde Héritaire à Transthyrétine (NAH-TTR) a été élaboré selon la « Méthode d'élaboration d'un protocole national de diagnostic et de soins pour les maladies rares » publiée par la Haute Autorité de Santé en 2012 (guide méthodologique disponible sur le site de la HAS : www.has-sante.fr). Le présent argumentaire comporte l'ensemble des données bibliographiques analysées pour la rédaction du PNDS.

Argumentaire.

Tableau 1. Recommandations de bonne pratique.

Auteur, année, référence, pays	Objectif	Stratégie de recherche bibliographique renseignée (oui/non)	Recueil de l'avis des professionnels (non, oui, lesquels)	Recueil de l'avis des patients (non, oui)	Populations et techniques (ou produits) étudiées	Résultats (avec grade des recommandations si disponible)
Garcia-Pavia P, et al. Eur Heart J 2021 ; 42 :1554-1568. Europe.	Proposer une définition invasive et non-invasive de l'amylose cardiaque, proposition d'un algorithme d'aide au diagnostic.	Non	Oui : groupe de travail de la société européenne de cardiologie.	Non	Patients atteints d'amylose cardiaque.	Nouvelle définition de l'amylose cardiaque. Proposition d'un algorithme d'aide au diagnostic.
Alcantara M, et al. Can J Neurol Sci 2022; 49:7-18. Canada.	Recommandations de la Société Canadienne de Neurologie pour le diagnostic, le traitement et le suivi des NAH-TTR.	Non	Oui : groupe de travail de la Société Canadienne de Neurologie.	Non	Patients avec une NAH-TTR.	Recommandations de la Société Canadienne de Neurologie pour le diagnostic, le traitement et le suivi des NAH-TTR.
Dorhn MF, et al. J Neurol 2021; 268:3610-3625. Allemagne, Autriche.	Recommandations des Sociétés Allemande et Autrichienne de Neurologie pour le diagnostic, le traitement et le suivi des NAH-TTR.	Oui	Oui : groupe de travail allemand et autrichien.	Non	Patients avec une NAH-TTR.	Recommandations des Sociétés Allemande et Autrichienne de Neurologie pour le diagnostic, le traitement et le suivi des NAH-TTR.

Tableau 1. Recommandations de bonne pratique.

Nakov R, et al. Eur J Gastroenterol Hepatol 2021; 33:613-622. Europe.	Recommandations d'un groupe d'experts européens pour le diagnostic, le traitement et le suivi des manifestations gastro- intestinales des NAH- TTR.	Oui	Oui : groupe de travail européen.	Non	Patients avec des manifestations gastro-intestinales de la NAH-TTR.	Recommandations pour le diagnostic, le bilan et le traitement des manifestations gastro-intestinales des NAH- TTR.
Condoluci A, et al. Swiss Med Wkly. 2021 Oct 20; 151:w30053. Suisse.	Recommandations de la Société Suisse de Neurologie pour le diagnostic, le traitement et le suivi des NAH-TTR.	Oui	Oui : groupe de travail suisse.	Non	Patients avec une NAH-TTR.	Recommandations de la Société Suisse de Neurologie pour le diagnostic, le traitement et le suivi des NAH-TTR.
Moisset X, et al. Rev Neurol (Paris). 2020. PMID: 32276788. France.	Recommandations d'un groupe d'experts français pour le traitement des douleurs neuropathiques chroniques.	Oui	Oui : groupe de travail français.	Non	Patients avec des douleurs neuropathiques chroniques.	Recommandations de la Société Française d'Evaluation et du Traitement de la Douleur pour la prise en charge des douleurs neuropathiques chroniques.

Tableau 2. Revues systématiques de la littérature.

Auteur, année, référence, pays	Objectif	Stratégie de recherche renseignée (oui/non)	Critères de sélection des études	Populations et techniques (ou produits) étudiées	Critères d'évaluation	Résultats et signification
Adams D, et al. Nat Rev Neurol 2019 ; 15-387-404. International.	Décrit la NAH-TTR : épidémiologie, clinique, diagnostic, traitement, pronostic.	Oui. Revue de la littérature.	NA.	NA.	NA.	NA.
Carroll A, et al. J Neurol Neurosurg Psychiatry 2022 Mar 7: jnnp-2021-327909. International.	Décrit la NAH-TTR : épidémiologie, clinique, diagnostic, traitement, pronostic.	Oui. Revue de la littérature.	NA.	NA.	NA.	NA.
Sousa L, et al. Neurology. 2021; 97:1111-1119. Portugal.	Décrit spécifiquement les complications neurologiques centrales de la NAH-TTR.	Oui. Revue de la littérature.	NA.	NA.	NA.	NA.

Tableau 3. Etudes cliniques.

Auteur, année, référence, pays	Objectif	Méthodologie, niveau de preuve	Population	Intervention	Critères de jugement	Résultats et signification
Maurer MS, et al. N Engl J Med 2018; 379:1007-1016. International.	Evaluation de l'efficacité du tafamidis (20mg, 80mg) contre placebo dans l'amylose cardiaque à TTR.	Essai de phase III randomisé en double aveugle.	441 patients présentant une amylose cardiaque à TTR mutée ou sauvage symptomatique.	Randomisation 2.1.2 pour du tafamidis 80, du tafamidis 20 ou du placebo.	Mortalité toute cause ou hospitalisation cardiovasculaire.	Amélioration sous tafamidis du critère primaire et de la mortalité globale (réduction absolue de 13%), en particulier sur les ATTR sauvages et sur les patients en classe II NYHA.
Gillmore JD, et al. Circulation 2016; 133:2404-12. International.	Utilité de la scintigraphie au biphosphonates pour le diagnostic de l'amylose cardiaque à transthyrétine.	Cohorte retrospective.	1217 patients suspects d'amylose cardiaque.	NA.	Confirmation diagnostique histologique.	La scintigraphie au biphosphonates a une sensibilité >99% et une spécificité de 86% pour le diagnostic d'amylose cardiaque à TTR. Les faux positifs correspondent à des amylose cardiaque AL.
Damy T, et al. Eur J Heart Fail 2021; 23:277-285. International.	Analyse à long terme de l'efficacité du tafamidis (20mg, 80mg) contre placebo dans l'amylose cardiaque à TTR.	Evaluation de la phase ouverte de l'essai ATTRACT (cf. supra) ; suivi étendu moyen de 51 mois.	441 patients présentant une amylose cardiaque à TTR mutée ou sauvage symptomatique.	Randomisation 2.1 pour du tafamidis 80, du tafamidis 20mg.	Mortalité toute cause ou hospitalisation cardiovasculaire.	Confirmation de l'efficacité du tafamidis (20 /80mg). Effet semblant plus prononcé avec le 80mg. Bonne tolérance.
Algalarrondo V, et al. J Am Coll Cardiol 2015; 66:2154-2156. International.	Estimation du pronostic à long terme chez les patients présentant une amylose à transthyrétine héréditaire.	Analyse retrospective, validation interne par bootstrap.	215 patients présentant une amylose cardiaque à TTR mutée.	NA	Mortalité toute cause.	Construction d'un score prédisant la survie et comprenant l'atteinte neurologie (PND, dysautonomie) et cardiaque (NYHA, épaisseur parétale à l'échographie).

Tableau 3. Etudes cliniques.

Auteur, année, référence, pays	Objectif	Méthodologie, niveau de preuve	Population	Intervention	Critères de jugement	Résultats et signification
Algalarrondo V, et al. JACC Cardiovasc Imaging; 2016; 9:1432-1441. International.	Estimation du pronostic à long terme chez les patients présentant une amylose à transthyrétine héréditaire ; comparaison des techniques évaluant la dysautonomie	Analyse retrospective, validation interne par bootstrap	215 patients présentant une amylose cardiaque à TTR mutée	NA	Mortalité toute cause	Supériorité des outils multiparamétriques, de la scintigraphie à la MIBG et du test à l'atropine pour prédire le pronostic.
Algalarrondo V, et al. Heart Rhythm 2012; 9:1069-75. International.	Estimation de l'utilité de la stimulation cardiaque prophylactique dans l'amylose à TTR héréditaire	Analyse retrospective	262 patients présentant une amylose cardiaque à TTR mutée	Stimulation cardiaque (n=100 patients)	Dépendance au stimulateur cardiaque	25% des patients implantés de manière préventive deviennent dépendant de la stimulation en 45 mois de suivi
Adams D, et al. N Engl J Med 2018; 379:11-21. International.	Evaluer l'efficacité du Patisiran dans le traitement de la NAH-TTR (étude APOLLO).	Etude de phase 3, double-aveugle, placebo, 18 mois.	225 patients inclus.	Traitement par Patisiran ou placebo.	Score mNIS+7, score Norfolk QOL-DN	Le Patisiran améliore la neuropathie et la qualité de vie des patients après 18 mois de traitement. Bonne tolérance.
Benson MD, et al. N Engl J Med 2018; 379:22-31. International.	Evaluer l'efficacité de l'Inotersen dans le traitement de la NAH-TTR.	Etude de phase 3, double-aveugle, placebo, 15 mois.	172 patients inclus.	Traitement par Inotersen ou placebo.	Score mNIS+7, score Norfolk QOL-DN	L'inotersen améliore la neuropathie et la qualité de vie des patients après 15 mois de traitement. Effets secondaires : thrombopénie, glomérulonéphrite.

Tableau 3. Etudes cliniques.

Auteur, année, référence, pays	Objectif	Méthodologie, niveau de preuve	Population	Intervention	Critères de jugement	Résultats et signification
Adams D, et al. Lancet Neurol 2021; 20:49-59. International.	Etude d'extension de l'efficacité du Patisiran.	Etude de phase 4, "open-label extension", analyse interim à 12 mois, de patients NAH-TTR sous Patisiran.	211 patients inclus, issus du bras placebo et du bras Patisiran de l'étude APOLLO.	Traitement par Patisiran	Score mNIS+7	L'efficacité du Patisiran se maintient à 12 mois avec toujours une bonne tolérance.
Schmidt HH, et al. Am J Transplant 2022 Feb 25. Doi: 10.1111/ajt.17009. International.	Etude de l'efficacité du patisiran chez les patients NAH-TTR après une greffe de foie.	Etude de phase 3b, open-label	23 patients NAH-TTR avec une greffe hépatique traités pendant 12 mois.	Traitement par Patisiran.	Diminution de la transthyrétine dans le sérum. Score Norfolk QOL-DN, BMI, score NIS.	Le Patisiran diminue le taux de TTR et améliore la neuropathie et la qualité de vie des patients NAH-TTR avec une greffe hépatique.
Ticau S, et al. Neurology. 2021; 96:e412-e422. International.	Analyse protéomique (1000 protéines du sérum) de patients NAH-TTR traités et non-traités et de sujets sains.	Etude observationnelle, cas-contrôle, avec analyses à 0, 9 et 18 mois.	Patients NAH-TTR sous patisiran ou sous placebo et sujets sains.	Analyse des protéines du sérum.	Modifications (augmentation ou diminution) protéomiques entre malades traités et non-traités et sujets sains.	Le neurofilament léger (NFI) dans le sérum semble un bon marqueur d'évolution de la NAH-TTR. Les patients sous Patisiran normalisent leurs taux de NFI en 18 mois.
Luigetti M, et al. Eur J Neurol 2022 Mar 15. Doi: 10.1111/ene.15325 Italie.	Evaluer la tolérance et l'efficacité de l'inotersen chez les patients NAH-TTR à début tardif.	Etude multicentrique, observationnelle, rétrospective.	23 patients analysés.	NA	Tolérance, effets secondaires, scores neurologiques.	L'inotersen est globalement bien toléré et efficace. 21 patients sont restés stables et 2 se sont aggravés. Aucun patient n'a interrompu le traitement en raison d'une thrombopénie.

Tableau 3. Etudes cliniques.

Auteur, année, référence, pays	Objectif	Méthodologie, niveau de preuve	Population	Intervention	Critères de jugement	Résultats et signification
Ericzon BG, et al. Transplantation 2015; 99:1847-54. Scandinavie.	Evaluer l'efficacité au long-cours de la greffe hépatique chez les patients NAH-TTR.	Analyse rétrospective sur 20 ans du registre mondial de greffe hépatique chez des patients NAH-TTR.	1940 patients greffés dans 77 centres, dont 1379 encore vivants.	NA	Survie à 20 ans post-greffe.	A 20 ans post-greffe, la survie est de 55%. Les meilleurs résultats sont observés chez les patients avec une mutation VAL30MET de début précoce.
Kakihara S, et al. Jpn J Ophthalmol 2020; 64:533-538. Japon.	Evaluer l'évolution du glaucome traité par technique Baerveldt dans le NAH-TTR.	Analyse rétrospective de 4 patients avec une NAH-TTR avec la mutation VAL30MET traités par Baerveldt.	4 patients, 5 yeux. Suivi à 1 an.	NA	Pression intra-oculaire, traitements hypotensifs.	Excellente efficacité de la méthode Baerveldt pour le maintien d'une pression intraoculaire normale.
Marta A, et al. Eye (Lond) 2022; 36:111-118. Portugal.	Evaluer l'évolution du glaucome traité par valve d'Ahmed dans la NAH-TTR.	Analyse rétrospective de patients NAH-TTR avec un glaucome traité par valve d'Ahmed.	87 patients, 114 yeux. Suivi moyen de 4 ans.	NA	Pression intraoculaire, traitements hypotensifs.	Chance de succès de 98% à 1 an, 72% à 6 ans. La valve d'Ahmed est une bonne méthode de traitement du glaucome dans la NAH-TTR.

Tableau 3. Etudes cliniques.

Auteur, année, référence, pays	Objectif	Méthodologie, niveau de preuve	Population	Intervention	Critères de jugement	Résultats et signification
Thiagadorupan P, et al. Eur J Ophthalmol 2021 ; 11206721211006569. France.	Evaluer l'évolution de l'oeil après vitrectomie chez les patients NAH-TTR.	Analyse rétrospective, monocentrique, avec suivi moyen de 40 mois.	21 yeux chez 15 patients.	NA	Pression intraoculaire, angiopathie amyloïde.	De nombreux patients NAH-TTR présentent des complications post-vitrectomie -glaucome, angiopathie amyloïde- ce qui indique un suivi spécifique.
Rousseau A, et al. Am J Ophthalmol 2018; 192:169-177. France.	Evaluation des anomalies vasculaires oculaires chez les patients avec une NAH-TTR VAL30MET.	Suivi prospectif par angiographie à la fluorescéine.	18 patients (36 yeux) avec une NAH-TTR.	NA	Evolution de l'angiopathie par angiographie à la fluorescéine.	L'angiopathie choroïdienne et rétinienne est fréquente chez les patients ANH-TTR VAL30MET.
Gillmore JD, et al. N Engl J Med 2021; 385:493-502. International.	Evaluation préliminaire de la tolérance et de l'efficacité d'un traitement par CRISPR-Cas9 de la NAH-TTR.	Multicentrique. Deux doses : 0.1 et 0.3 mg/kg. Délétion sélective et définitive (irréversible) du gène TTR dans le foie.	6 patients traités par voie IV.	Traitement IV par CRISPR-Cas9 avec ciblage TTR spécifiquement dans le foie.	Effets secondaires, taux de TTR sérique.	Réduction de 87% des taux de TTR sérique dans le groupe de 3 patients traités à la dose de 0.3 mg/kg. Bonne efficacité et bonne tolérance.

Annexe 1. Recherche documentaire & sélection des articles.

Recherche documentaire

Sources consultées	Bases de données : Pubmed/NCBI Sites internet : Pubmed, Orphanet, Cochrane
Période de recherche	1975-2022
Langues retenues	Français, Anglais
Mots clés utilisés	La recherche de données sur PubMed/Medline a inclus les termes "hereditary transthyretin amyloidosis", "TTR amyloidosis" et "familial amyloid polyneuropathy" en combinaison avec les termes "pathophysiology", "TTR function", "TTR stabilization", "TTR knockdown", "antisense oligonucleotides", et "small-interfering RNA". La bibliographie finale a été générée sur la base de la pertinence et de l'originalité. Nous avons mis l'accent sur les articles publiés au cours des dix dernières années.
Nombre d'études recensées	125
Nombre d'études retenues	27

Critères de sélection des articles

Les études cliniques, case reports et revues systématiques de la littérature ainsi que tous les articles permettant d'établir des recommandations de bonnes pratiques et jugés importants par le comité de rédaction ont été sélectionnés.

Annexe 2. Liste des participants.

Ce travail a été coordonné par le Pr Andoni Echaniz-Laguna, Coordonnateur du CRMR National « Neuropathies Périphériques Rares » du CHU de Bicêtre.

Ont participé à l'élaboration du PNDS :

Rédacteurs

- Pr Vincent ALGALARRONDO, Cardiologue CRMR Bichat.
- Pr Alexandra BENACHI, Gynécologue, Hôpital Bécclère, Clamart.
- Dr Cécile CAUQUIL, Neurologue CRMR Bicêtre.
- Dr Antoine ROUSSEAU, Ophtalmologue CRMR Bicêtre.
- Pr Andoni ECHANIZ-LAGUNA, Neurologue CRMR Bicêtre.
- Pr David ADAMS, Neurologue CRMR Bicêtre.

Groupe de travail multidisciplinaire :

- Jean-Philippe CAMDESSANCHE, Neurologue CHU Saint-Etienne.
- Shahram ATTARIAN, Neurologue CHU Marseille.
- Céline TARD Neurologue CHU Lille.
- Yann PEREON, Neurologue CHU Nantes.
- Aissatou SIGNATE, Neurologue CHU Fort-de-France.
- Guilhem SOLE, Neurologue CHU Bordeaux.
- Olivier LAIREZ, Cardiologue CHU Toulouse.
- Jocelyn INAMO, Cardiologue CHU Fort-de-France.
- Marie THEAUDIN, Neurologue, CHU Lausanne.
- Raphaëlle DELPECH, Médecin Généraliste, Bagneux
- Agnès FARRUGIA, Association Française Contre l'Amylose (AFCA).
- Géraldine NONNEZ, psychologue, Bicêtre APHP.
- Philippe THOUMIE, médecin MPR, Hôpital Rothschild APHP.

Déclarations d'intérêt

Tous les participants à l'élaboration du PNDS ont rempli une déclaration d'intérêt. Les déclarations d'intérêt sont en ligne et consultables sur le site internet du(des) centre(s) de référence.

Références bibliographiques

1. Adams D, Koike H, Slama M, Coelho T. Hereditary transthyretin amyloidosis: a model of medical progress for a fatal disease. *Nat Rev Neurol* 2019; 15:387-404.
2. Adams D, Gonzalez-Duarte A, O'Riordan WD, et al. Patisiran, an RNAi therapeutic, for hereditary transthyretin amyloidosis. *N Engl J Med* 2018; 379:11-21.
3. Benson MD, Waddington-Cruz M, Berk JL, et al. Inotersen treatment for patients with hereditary transthyretin amyloidosis. *N Engl J Med* 2018; 379:22-31.
4. Adams D, Polydefkis M, González-Duarte A, et al. Long-term safety and efficacy of patisiran for hereditary transthyretin-mediated amyloidosis with polyneuropathy: 12-month results of an open-label extension study. *Lancet Neurol* 2021; 20:49-59.
5. Garcia-Pavia P, Rapezzi C, Adler Y, et al. Diagnosis and treatment of cardiac amyloidosis: a position statement of the ESC Working Group on Myocardial and Pericardial Diseases. *Eur Heart J* 2021; 42:1554-1568.
6. Gillmore JD, Maurer MS, Falk RH, et al. Nonbiopsy diagnosis of cardiac transthyretin amyloidosis. *Circulation* 2016; 133:2404-12.
7. Alcantara M, Mezei MM, Baker SK, et al. Canadian Guidelines for Hereditary Transthyretin Amyloidosis Polyneuropathy Management. *Can J Neurol Sci* 2022; 49:7-18.
8. Dohrn MF, Auer-Grumbach M, Baron R, et al. Chance or challenge, spoilt for choice? New recommendations on diagnostic and therapeutic considerations in hereditary transthyretin amyloidosis with polyneuropathy: the German/Austrian position and review of the literature. *J Neurol* 2021; 268:3610-3625.
9. Nakov R, Suhr OB, Ianiro G, et al. Recommendations for the diagnosis and management of transthyretin amyloidosis with gastrointestinal manifestations. *Eur J Gastroenterol Hepatol* 2021; 33:613-622.
10. Sousa L, Coelho T, Taipa R. CNS Involvement in Hereditary Transthyretin Amyloidosis. *Neurology* 2021; 97:1111-1119.
11. Carroll A, Dyck PJ, de Carvalho M, et al. Novel approaches to diagnosis and management of hereditary transthyretin amyloidosis. *J Neurol Neurosurg Psychiatry* 2022; jnnp-2021-327909.
12. Maurer MS, Schwartz JH, Gundapaneni B, et al. Tafamidis Treatment for Patients with Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy. *N Engl J Med* 2018; 379:1007-1016.
13. Damy T, Garcia-Pavia P, Hanna M, et al. Efficacy and safety of tafamidis doses in the Tafamidis in Transthyretin Cardiomyopathy Clinical Trial (ATTR-ACT) and long-term extension study. *Eur J Heart Fail* 2021; 23:277-285.
14. Algalarrondo V, Antonini T, Théaudin M, et al. Prediction of long-term survival after liver transplantation for familial transthyretin amyloidosis. *J Am Coll Cardiol* 2015; 66:2154-2156.
15. Algalarrondo V, Antonini T, Théaudin M, et al. Cardiac Dysautonomia Predicts Long-Term Survival in Hereditary Transthyretin

- Amyloidosis After Liver Transplantation. JACC Cardiovasc Imaging 2016; 9:1432-1441.
16. Algalarrondo V, Dinanian S, Juin C, et al. Prophylactic pacemaker implantation in familial amyloid polyneuropathy. Heart Rhythm 2012; 9:1069-75.
17. Schmidt HH, Wixner J, Planté-Bordeneuve V, et al. Patisiran treatment in patients with hereditary transthyretin-mediated amyloidosis with polyneuropathy after liver transplantation. Am J Transplant 2022 Feb 25. doi: 10.1111/ajt.17009.
18. Tica S, Sridharan GV, Tsour S, et al. Neurofilament Light Chain as a Biomarker of Hereditary Transthyretin-Mediated Amyloidosis. Neurology 2021; 96:e412-e422.
19. Luigetti M, Antonini G, Di Paolantonio A, et al. Real-life experience with inotersen in hereditary transthyretin amyloidosis with late-onset phenotype: Data from an early-access program in Italy. Eur J Neurol 2022 Mar 15. doi: 10.1111/ene.15325.
20. Ericzon BG, Wilczek HE, Larsson M, et al. Liver Transplantation for Hereditary Transthyretin Amyloidosis: After 20 Years Still the Best Therapeutic Alternative? Transplantation 2015; 99:1847-54.
21. Kakiyama S, Hirano T, Imai A, et al. Baerveldt glaucoma drainage implant surgery for secondary glaucoma in patients with transthyretin-related familial amyloid polyneuropathy. Jpn J Ophthalmol 2020; 64:533-538.
22. Marta A, Vieira R, Figueiredo A, et al. Ahmed valve for secondary glaucoma in patients with hereditary transthyretin amyloidosis. Eye (Lond) 2022; 36:111-118.
23. Thiagadorupan P, Barreau E, Gendron G, et al. Specific postoperative complications of vitrectomy in hereditary transthyretin amyloidosis. Eur J Ophthalmol 2021; 11206721211006569.
24. Rousseau A, Terrada C, Touhami S, et al. Angiographic Signatures of the Predominant Form of Familial Transthyretin Amyloidosis (Val30Met Mutation). Am J Ophthalmol 2018; 192:169-177.
25. Gillmore JD, Gane E, Taubel J, et al. CRISPR-Cas9 In Vivo Gene Editing for Transthyretin Amyloidosis. N Engl J Med 2021; 385:493-502.
26. Condoluci A, Théaudin M, Schwotzer R, et al. Management of transthyretin amyloidosis. Swiss Med Wkly. 2021 Oct 20; 151:w30053.
27. Moisset X, et al. Pharmacological and non-pharmacological treatments for neuropathic pain: systematic review and French recommendations. Rev Neurol (Paris). 2020. PMID: 32276788.