



Malattie rare, nuova terapia rimborsabile per amiloidosi cardiaca da transtiretina

Descrizione

(Adnkronos) → Bayer annuncia che acoramidis è ora rimborsato in Italia per il trattamento dell'amiloidosi da transtiretina (Attr), sia nella forma "wild type" sia variante, in pazienti adulti con cardiomiopatia (Attr-Cm). L'accesso alla terapia attraverso il Servizio sanitario nazionale segna un passo importante per una malattia rara progressiva e spesso sottodiagnosticata•, si legge nella nota. La rimborsabilità da parte dell'Agenzia italiana del farmaco segue le approvazioni delle autorità regolatorie statunitense (Fda, novembre 2024) ed europea (Ema, febbraio 2025).

L'amiloidosi cardiaca da transtiretina → spiega l'azienda → è caratterizzata dal deposito nel cuore di fibrille amiloidi derivanti dalla proteina transtiretina (Ttr), con impatto negativo sulla funzione cardiaca. La malattia può manifestarsi con sintomi comuni ad altre cardiopatie, come affaticamento persistente, dispnea anche a sforzi leggeri, aritmie o sincope, rendendo la diagnosi complessa. Spesso anni prima del coinvolgimento cardiaco possono comparire manifestazioni sistemiche come sindrome del tunnel carpale bilaterale, disturbi della colonna lombare o sintomi neuropatici. Riconoscere questi segnali è fondamentale per intercettare la malattia nelle fasi iniziali, quando il cuore non ha ancora sviluppato un danno strutturale avanzato. Il miglioramento nella gestione dell'Attr-Cm deriva oggi dalla combinazione di una maggiore consapevolezza clinica e dall'impiego di strumenti diagnostici sempre più accurati, dall'imaging non invasivo ai test ematochimici e alle analisi genetiche, che consentono di identificare precocemente i pazienti a rischio e avviare percorsi terapeutici mirati. In questo contesto, acoramidis rappresenta una innovazione farmacologica atta a migliorare il decorso della patologia. Sviluppato per stabilizzare la proteina transtiretina nella sua forma fisiologica, il farmaco riduce la formazione di fibrille amiloidi che si depositano nel miocardio, intervenendo direttamente sul processo patologico alla base dell'Attr-Cm.

L'ingresso di acoramidis nella pratica clinica quotidiana rappresenta un avanzamento rilevante nella gestione dell'Attr-Cm → commenta Giovanni Palladini, medico internista, direttore del Centro amiloidosi sistemiche e malattie ad alta complessità della Fondazione Irccs Policlinico San Matteo di Pavia, professore ordinario di Biochimica clinica e Biologia molecolare clinica all'università di Pavia → Avere un trattamento mirato che stabilisce un legame specifico con la transtiretina, dimostrando grande potenza e capacità di stabilizzare la proteina stessa, permette di intervenire con efficacia sul processo patologico e di costruire percorsi di cura strutturati. È un passo importante per una

malattia che richiede diagnosi precoci, monitoraggi attenti e terapie mirateâ?•.

â??La rimborsabilitÃ di acoramidis da parte di Aifa rappresenta un traguardo significativo per i pazienti con Attr-Cm, per le loro famiglie e per la comunitÃ clinica â?? dichiara Simona Gatti, direttore medico di Bayer Italia â?? Questo risultato testimonia lâ??impegno costante e continuo di Bayer nel campo delle malattie cardiovascolari e la nostra volontÃ di rendere disponibili soluzioni innovative e accessibili a un numero sempre maggiore di pazientiâ?•.

La rimborsabilitÃ di acoramidis â?? ricorda la nota â?? si basa sui risultati dello studio clinico registrativo â??Attribute-Cmâ?? condotto su pazienti con Attr-Cm. Il trial ha raggiunto lâ??endpoint primario composito di mortalitÃ per tutte le cause e ospedalizzazioni cardiovascolari, mostrando un miglioramento rispetto al placebo giÃ dopo tre mesi di trattamento. Dopo 30 mesi il rischio combinato di mortalitÃ e ricoveri cardiovascolari ricorrenti si Ã“ ridotto del 42% rispetto al placebo, mentre il tasso annualizzato di ospedalizzazioni cardiovascolari Ã“ risultato dimezzato. Il profilo di sicurezza Ã“ risultato complessivamente favorevole. Questi dati hanno supportato lâ??approvazione di Ema e il successivo riconoscimento della rimborsabilitÃ in Italia, confermando il valore clinico di una terapia progettata per agire direttamente sul meccanismo alla base della malattia.

â??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Novembre 24, 2025

Autore

redazione