



## Cardiomiopatia amiloide da transtiretina, con acoramidis -41% rischio peggioramento scompenso

### Descrizione

Al congresso Heart Failure della European Society of Cardiology, svoltosi a Barcellona, Bayer ha annunciato i risultati di nuove analisi su acoramidis nella cardiomiopatia amiloide da transtiretina (Attr-Cm). Il peggioramento dello scompenso cardiaco in regime ambulatoriale come predittore degli outcome clinici. Un'analisi esplorativa post-hoc dello studio clinic di fase 3 ATTRIBUTE-Cm ha valutato il significato prognostico del peggioramento dello scompenso cardiaco in regime ambulatoriale e il potenziale beneficio di acoramidis rispetto al placebo. L'analisi ha evidenziato che il peggioramento ambulatoriale dello scompenso cardiaco è associato a un aumento del rischio di molteplici outcome clinici avversi fino a 30 mesi, inclusi mortalità per tutte le cause, mortalità cardiovascolare e ospedalizzazione per cause cardiovascolari. Acoramidis è stato associato a una riduzione del rischio del 41% di peggioramento dello scompenso cardiaco in regime ambulatoriale rispetto al placebo (40,83% vs 59,41%). Il beneficio è emerso precocemente, raggiungendo la prima significatività statistica nominale al giorno 30, ed è risultato sostenuto dal giorno 134 fino a 30 mesi.

Questa nuova analisi rafforza il ruolo di acoramidis nella Attr-Cm, e in particolare su outcome clinici rilevanti inclusi il peggioramento dello scompenso cardiaco e le ospedalizzazioni ha dichiarato Simona Gatti, direttore Medico, Bayer Italia -. Per Bayer, ciò riflette l'impegno non solo a portare ai pazienti terapie innovative, ma anche a generare dati solidi a supporto delle decisioni cliniche. Continuiamo a lavorare per rispondere ai rilevanti bisogni clinici insoddisfatti nella Attr-Cm e per migliorare gli outcome dei pazienti.

I pazienti con Attr-Cm vanno frequentemente incontro a ritardi nella diagnosi, interagendo in media 17 volte con le strutture ospedaliere nei tre anni precedenti la diagnosi. Dopo la diagnosi, in assenza di trattamento, la sopravvivenza media a cinque anni è di circa il 35%.

La cardiomiopatia amiloide da transtiretina (Attr-Cm) è una malattia progressiva e letale, caratterizzata dall'accumulo di proteine anomale nel muscolo cardiaco. Si sviluppa quando una proteina

tetramericata chiamata transtiretina (ttr) diventa instabile, a causa di una mutazione genetica ereditaria o dei processi di invecchiamento, e si dissocia nei suoi monomeri. Questi monomeri si ripiegano in modo anomalo, si aggregano e formano fibrille amiloidi che si depositano nel cuore, causando un'insufficienza cardiaca. La malattia viene spesso diagnosticata in stadi avanzati, quando l'accumulo di amiloide  $\beta$  gi $\beta$  avvenuto e i pazienti cominciano a manifestare i primi sintomi. Senza trattamento, pazienti con Attr-Cm hanno una sopravvivenza media  $\beta$  di 3-5 anni.

Acoramidis  $\beta$  una piccola molecola selettiva, somministrata per via orale, che agisce come stabilizzatore della proteina (ttr) in modo quasi completo ( $\beta$ 90%). Offre un'efficace stabilizzazione del tetramero della ttr, mimando una mutazione protettiva naturale del gene ttr (T119M), che agisce sulla causa alla base della Attr-Cm: la destabilizzazione del tetramero nativo della ttr. Lo studio clinico di fase 3 ATTRibute-Cm ha valutato l'efficacia e la sicurezza di acoramidis (somministrato due volte al giorno rispetto al placebo) nei pazienti con Attr-Cm. Rispetto al placebo, acoramidis somministrato due volte al giorno  $\beta$  risultato superiore nel raggiungimento dell'endpoint composito di mortalit $\beta$  per tutte le cause (Acm) e ospedalizzazione di origine cardiovascolare (Cvh) nei pazienti con Attr-Cm fino al mese 30: beneficio significativo sull'endpoint primario dello studio (composito di Acm e prima Cvh, principalmente guidato dalla Cvh); riduzione del 36% del rischio dell'endpoint composito di Acm o prima ospedalizzazione cardiovascolare a 30 mesi, rilevata mediante modello di regressione di Cox in un'analisi post-hoc esplorativa; riduzione relativa del rischio del 42% dell'endpoint combinato di Acm o Cvh ricorrente rispetto al placebo a 30 mesi; riduzione relativa del rischio del 50% delle ospedalizzazioni cardiovascolari cumulative annualizzate rispetto al placebo a 30 mesi. Acoramidis  $\beta$  risultato generalmente ben tollerato.

Acoramidis, sviluppato da BridgeBio,  $\beta$  stato approvato dalla Food and Drug Administration (Fda) negli Stati Uniti nel 2024 e dalla Commissione europea nell'Unione europea all'inizio del 2025, con un'indicazione che specifica la stabilizzazione quasi completa della ttr. Bayer detiene i diritti esclusivi di commercializzazione del prodotto in Europa, mentre BridgeBio detiene i diritti di commercializzazione di acoramidis negli Stati Uniti e in altre regioni. Dal marzo 2024, Bayer e BridgeBio hanno avviato una collaborazione per acoramidis in Europa. Questa partnership valorizza la lunga esperienza di Bayer nelle malattie cardiovascolari e la sua consolidata infrastruttura europea, insieme alla leadership di BridgeBio nel settore emergente dell'Attr-Cm.

$\beta$

cronaca

[webinfo@adnkronos.com](mailto:webinfo@adnkronos.com) (Web Info)

## Categoria

1. Comunicati

## Tag

1. Ultimora

## Data di creazione

Giugno 4, 2026

## Autore

redazione

*default watermark*