Malattie rare, amiloidosi cardiaca da transtiretina: farmaco rallenta progressione

Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? Al Congresso 2025 della SocietÃ Europea di Cardiologia (Esc) Bayer ha condiviso nuove analisi post hoc dello studio di fase III Attribute-Cm su acoramidis. Le analisi esplorative suggeriscono, tra i pazienti affetti da amiloidosi cardiaca da transtiretina, miglioramenti clinicamente significativi rispetto al basale, nei livelli del biomarcatore NT-proBNP, di NT-proBNP nella distanza percorsa in 6 minuti e/o un miglioramento o un arresto della progressione secondo il sistema di stadiazione del National amyloidosis center. Le analisi dell'effetto di acoramidis sul miglioramento dei livelli di NT-proBNP da solo e sulla capacitÃ del farmaco di migliorare o arrestare lo stadio Nac â?? riporta una nota â?? sono state condotte da BridgeBio Pharma. L'azienda farmaceutica Bayer ha condotto le analisi sul miglioramento clinicamente significativo rispetto al basale nei livelli di NT-proBNP/6MWD. Senza trattamento, le persone con la diagnosi hanno una sopravvivenza mediana che varia dai 3 ai 5 anni. Grazie ai progressi nelle tecniche diagnostiche, Ã¨ sempre piÃ¹ evidente che la amiloidosi cardiaca da transtiretina (Attr-Cm) rappresenta una causa sotto diagnosticata di insufficienza cardiaca, contribuendo fino al 15% dei casi di insufficienza cardiaca con frazione di eiezione preservata (HFpEF). "Queste analisi ci offrono segnali promettenti, suggerendo che acoramidis potrebbe avere il potenziale, in alcuni pazienti, di fare molto piÃ¹ che rallentare la progressione della malattia. I risultati indicano, infatti, miglioramenti clinicamente significativi, rispetto al basale, nei valori di NT-proBNP e NT-proBNP/6MWD" dichiara Francesco Cappelli, cardiologo presso l'Azienda ospedaliero-universitaria Careggi di Firenze. Nel corso dello studio di fase 3 â?? si legge â?? la classe Nyha (New York Heart Association), che valuta i sintomi e lo stato funzionale dei pazienti con insufficienza cardiaca, Ã¨ rimasta stabile o Ã¨ migliorata nel 64,1% dei partecipanti trattati con acoramidis, rispetto al 47% di quelli trattati con placebo, dopo 30 mesi di trattamento. La prima analisi post hoc presentata al Congresso ha valutato l'andamento dei livelli di NT-proBNP rispetto ai valori iniziali. I dati mostrano che, nel gruppo trattato con acoramidis, un numero maggiore di pazienti (3 su 4), sopravvissuti fino alla fine del periodo di 30 mesi, ha mostrato una stabilizzazione o un miglioramento della malattia superiore al 30% rispetto al basale, rispetto al gruppo placebo. Dopo 30 mesi, quasi la metÃ dei partecipanti che hanno ricevuto acoramidis (45%) ha registrato una riduzione netta dei livelli del biomarcatore considerato, contro solo il 9% di quelli trattati con placebo. La seconda analisi post hoc ha esaminato se acoramidis fosse in grado di migliorare il numero di pazienti che ottenessero miglioramenti clinicamente significativi rispetto ai valori iniziali nei livelli di NT-proBNP e nella distanza percorsa in 6 minuti, rispetto al placebo, dopo 30 mesi. I risultati hanno mostrato una differenza significativa: circa 1 paziente su 4 (22,7%, 93 su 409)

nel gruppo acoramidis ha ottenuto un miglioramento in almeno uno di questi parametri, contro circa 1 paziente su 10 nel gruppo placebo (8,9%, 18 su 202). La terza analisi post hoc ha indagato l'effetto di acoramidis sul cambiamento dello stadio Nac Attr rispetto al basale, dopo 30 mesi, confrontandolo con il placebo. I risultati hanno evidenziato una differenza statisticamente significativa: una maggiore percentuale di partecipanti nel gruppo acoramidis (52,1%) ha raggiunto uno stadio Nac stabile o migliorato, rispetto al 43,1% del gruppo placebo. "Questi nuovi dati rafforzano ulteriormente il potenziale di acoramidis nel rallentare la progressione dei depositi di amiloide. Storicamente, una diagnosi tardiva imponeva di concentrarsi principalmente sul rallentamento della malattia. Tuttavia, una diagnosi precoce apre la strada a opportunitÃ piÃ¹ ampie, e siamo entusiasti di vedere come sia possibile continuare a supportare i pazienti affetti da amiloidosi cardiaca da transtiretina â?? commenta Frank Schoening, responsabile del team globale di prodotto per le cardiomiopatie di Bayer Pharmaceuticals -Come ultimo trattamento aggiunto al nostro portafoglio per l'insufficienza cardiaca, questo farmaco riflette l'impegno costante di Bayer nel migliorare l'assistenza ai pazienti con questa patologia debilitante a livello globale". "L'insufficienza cardiaca rimane una delle sfide piÃ¹ urgenti nell'assistenza sanitaria in tutto il mondo, con condizioni come l'Attr -Cm spesso non diagnosticate o sottodiagnosticate. Acoramidis segna un'importante pietra miliare che porta un rinnovato ottimismo per i pazienti affetti dalla malattia. Il farmaco offre ai medici un'ulteriore opzione terapeutica ad azione rapida per proteggere questi pazienti vulnerabili, riducendo il rischio di eventi cardiovascolari e rallentando la progressione della malattia" afferma Christine Roth, Executive Vice President, Global Product Strategy and Commercialization e membro del Pharmaceuticals Leadership Team di Bayer. Il sistema di stadiazione Nac â?? riferisce la nota â?? Ã¨ un metodo convalidato che classifica i pazienti in base al rischio di mortalitÃ , con una sopravvivenza che diminuisce dallo stadio 1 allo stadio 3. L'NT-proBNP Ã¨ un biomarcatore comunemente utilizzato per diagnosticare e monitorare l'insufficienza cardiaca, con livelli elevati che indicano che il cuore Ã¨ sotto sforzo e potrebbe non pompare in modo efficace. Il test della distanza percorsa in 6 minuti (6MWD) misura la capacitÃ funzionale di esercizio di un paziente con insufficienza cardiaca, ed Ã¨ spesso correlato alla qualitÃ della vita. Le analisi presentate all'Esc suggeriscono che acoramidis puÃ² ridurre lo stress cardiaco, migliorare la capacitÃ funzionale di esercizio e contribuire a un miglioramento della qualitÃ della vita in alcuni pazienti. Acoramidis, sviluppato da BridgeBio, Ã¨ stato approvato dalla Fda nel 2024 e dallâ??Ema all'inizio del 2025, con un'autorizzazione che specifica la stabilizzazione quasi completa della transtiretina. Bayer â?? conclude la nota â?? detiene i diritti esclusivi di commercializzazione del prodotto in Europa, mentre BridgeBio ha i diritti di marketing per acoramidis negli Stati Uniti e in altre regioni. Dal marzo 2024, Bayer e BridgeBio hanno avviato una collaborazione per acoramidis in Europa. Lâ??amiloidosi cardiaca da transtiretina Ã¨ una malattia progressiva e degenerativa, caratterizzata dall'accumulo di proteine anomale nel muscolo cardiaco. Si sviluppa quando la transtiretina (Ttr), una proteina tetramerica, 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 unâ??insufficienza cardiaca. La malattia viene spesso diagnosticata in stadi avanzati, quando l'accumulo di amiloide Ã¨ giÃ avvenuto e i pazienti cominciano a manifestare i sintomi. Senza trattamento, i pazienti con Attr-Cm hanno una sopravvivenza media di 3-5 anni. â??salutewebinfo@adnkronos.com (Web Info)

default watermark

Categoria

1. H24News

Tag

1. adnkronos
2. Ultimora

Data di creazione
Settembre 1, 2025
Autore
andreaperocchi_pdnrf3x8

default watermark