

54-Monats-Daten von Acoramidis bei kardialer Amyloidose

Die Transthyretin-Amyloid-Kardiomyopathie (ATTR-CM) ist eine fortschreitende Erkrankung, die durch eine Destabilisierung des Serum-Transthyretins (sTTR) verursacht wird. Acoramidis (Beyonttra®), das eine nahezu vollständige (90%) Stabilisierung des Serum-Transthyretins bewirkt, zeigte in der ATTRIBUTE-CM-Studie bis zum 30. Monat einen klinischen Nutzen, der sich in der offenen Verlängerungsstudie (OLE) bis zum 42. Monat weiter verstärkte. Die internationale, multizentrische Studie ist eine laufende OLE-Studie, publiziert wurden nun Daten zur langfristigen Wirksamkeit und Sicherheit bis zum 54. Monat.

Alle OLE-Teilnehmer erhalten offen zweimal täglich 800 mg Acoramidis oral. Ursprüngliche Acoramidis-Empfänger aus der ATTRIBUTE-CM-Studie setzten dabei die Therapie fort und Plazeboempfänger wechselten für die OLE-Studie zu Acoramidis. Von ursprünglich 632 Teilnehmern aus der ATTRIBUTE-CM-Studie nahmen 389 Teilnehmer an der OLE-Studie teil: 263 aus der Gruppe mit kontinuierlicher Acoramidis-Behandlung und 126 aus der Plazebo-zu-Acoramidis-Gruppe.

Die kontinuierliche Acoramidis-Behandlung reduzierte das Risiko für Gesamtmortalität um 45% (Hazard Ratio [HR]: 0,55; 95%-Konfidenzintervall [KI]: 0,42–0,74; $p < 0,001$) und für kardiovaskuläre Mortalität um 49% (HR: 0,51; 95%-KI: 0,36–0,71; $p < 0,001$) bis zum 54. Monat. Die kontinuierliche Gabe von Acoramidis reduzierte das Risiko für eine erste kardiovaskuläre Hospitalisation um 47% (HR: 0,53; 95%-KI: 0,42–0,69; $p < 0,001$) bis zum 54. Monat.

Die kontinuierliche Gabe von Acoramidis stabilisierte bis zum 54. Monat darüber hinaus den Anstieg von NT-proBNP, hielt die sTTR-Werte auf einem höheren Niveau und stabilisierte den herzinsuffizienzbedingten Gesundheitszustand (Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire – Overall Summary [KCCQ-OS] Score) sowie die 6-Minuten-Gehdistanz (6MWD).

Der Wechsel von Plazebo zu Acoramidis im Monat 30 war mit einer Stabilisierung von NT-proBNP und KCCQ-OS-Score sowie Verbesserungen bei sTTR und 6MWD bis zum Monat 54 verbunden. Es wurden keine neuen langfristigen Sicherheitsbedenken festgestellt.

Die frühzeitige und kontinuierliche Therapie mit Acoramidis führte zu anhaltenden schrittweisen Reduktionen von Gesamtmortalität, kardiovaskulärem Tod und erster kardiovaskulärer Hospitalisation bis zum Monat 54, was die Bedeutung einer frühzeitigen und kontinuierlichen Langzeitbehandlung mit Acoramidis bei ATTR-CM unterstreicht, so das Fazit der Autoren.

vh 

Quelle: Soman P et al.: Long-Term Durability of Acoramidis Efficacy in Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy: Open-Label Extension of the ATTRIBUTE-CM Randomized Clinical Trial. JAMA Cardiol. 2026;11(5):446-454. doi:10.1001/jamacardio.2026.0819