

# **Neue Behandlungsoptionen für die Herz-Amyloidose**

## **Referat PD. Dr. med. Simon Stämpfli**

Die Herz-Amyloidose ist eine Erkrankung, bei der sich fehlgefaltete Eiweisse (Proteine) als sogenannte Amyloidfibrillen im Herzen ablagern und dessen Funktion beeinträchtigen. Die häufigste Form ist die Transthyretin (TTR) Amyloidose, bei der das Protein Transthyretin instabil wird und sich im Herzmuskel ansammelt. Dies führt zu Symptomen wie Atemnot, Wassereinlagerungen und Herzrhythmusstörungen. In den letzten Jahren wurden bedeutende Fortschritte in der Behandlung der TTR-Amyloidose erzielt. Verschiedene Medikamente zielen darauf ab, die Bildung und Ablagerung von Amyloid zu verhindern. Aktuelle Forschung untersucht den Ansatz, bereits vorhandene Ablagerungen zu reduzieren.

### **Stabilisatoren**

Tafamidis und Acoramidis stabilisieren das Transthyretin-Protein und verhindern so dessen Zerfall in schädliche Fibrillen. Beide Präparate haben in klinischen Studien ihre Wirksamkeit gezeigt. Tafamidis ist es in der Schweiz bereits für die Behandlung der TTR-Amyloidose zugelassen. Es wird erwartet, dass bald auch Acoramidis eine wichtige Rolle für die Behandlung dieser Erkrankung spielen wird.

### **Gene Silencer**

Vutrisiran ist ein RNA-Interferenz-Therapeutikum, das die Produktion des Transthyretin-Proteins in der Leber reduziert. In der HELIOS-B-Studie konnte Vutrisiran das Fortschreiten der Erkrankung verlangsamen und die Prognose verbessern. Vutrisiran wird alle drei Monate subkutan verabreicht und ist in der Schweiz für die Herz-Amyloidose noch nicht zugelassen. Weitere Substanzen mit ähnlichem Wirkmechanismus werden zurzeit untersucht.

### **Antikörper**

NI006 /ALXN2220 ist ein humaner Antikörper, der direkt an die Amyloidablagerungen im Herzen bindet und deren Abbau fördert. In einer frühen klinischen Studie zeigte NI006 eine Reduktion der Amyloidlast im Herzgewebe. Weitere Studien sind aktuell am Laufen, um die Wirksamkeit und Sicherheit dieses Antikörpers zu untersuchen.

### **Fazit**

Angesichts der aktuellen Forschungsergebnisse ist anzunehmen, dass sich die Behandlungsmöglichkeiten für Patienten mit TTR-Amyloidose in Zukunft erheblich erweitern werden.