

Tab. 1. Porovnání baseline dat nejvýznamnějších studií léčby transthyretinové kardiomyopatie s charakteristikou souborů pacientů a nejdůležitějšími výsledky. Upraveno podle citace 20

	ATTR-ACT (n = 411 pts)	ATTRIBUTE-CM (n = 632 pts)	HELIOS-B (n = 655 pts)
Testovaný lék	tafamidis	acoramidis	lutrisiran
Mechanismus účinku	stabilizátor transthyretinu	stabilizátor transthyretinu	inhibitor syntézy transthyretinu
Způsob podávání, dávka	p. o., 20 mg nebo 80 mg 1x denně	p. o., 800 mg 2x denně	s. c., 25 mg každé 3 měsíce
Období náboru pacientů	12/2013–8/2015	4/2019–10/2020	12/2019–8/2021
Průměrný věk při zařazení (roky)	75	77	77
Podíl žen (%)	9 %	10 %	9 %
Hereditární forma (%)	24 %	10 %	12 %
Funkční třída NYHA (%)	I 8 % II 60 % III 32 %	I 11 % II 72 % III 17 %	I 13 % II 78 % III 9 %
NT-proBNP (pg/ml), medián	~3000	2326	~1900

podíl nemocných léčených tafamidisem (20 % a 40 % nemocných), ke kterému byla studijní intervence přidávána. Kromě významného ovlivnění mortalitních a morbiditních cílových ukazatelů zpomalují tyto tři léčebné intervence také zhoršování výkonnosti při šestiminutovém testu chůze a pokles kvality života hodnocené podle Kansaského dotazníku. V České republice je zatím jediným hrazeným lékem pro transthyretinovou kardiomyopatii tafamidis. Očekává se přiznání úhrady acoramidisu a lutrisiranu. Diskutuje se, zda bude optimálním léčebným postupem stabilizace nebo inhibice tvorby transthyretinu, popřípadě kombinace těchto postupů (20). Přímé srovnání těchto strategií však neexistuje. Vzhledem k nákladnosti patrně nebude kombinační léčba těmito preparáty dlouho možná. Pro úspěch léčiv v klinické praxi bude rozhodující tolerance léčby a finanční limitace v konkrétním zdravotním systému.

Závěr

ATTR-CM se projevuje známkami srdečního selhání, fibrilací síní, atrioventrikulárními blokádami a vede k časnější klinické manifestaci aortální stenózy. Podezření na ATTR-CM máme hlavně u jedinců starších šedesáti let, pokud jsou výše uvedené klinické manifestace provázeny ztlustěním stěn LKS. Diagnózu ATTR-CM dokážeme ve většině případů stanovit neinvazivně. Nezbytnou součástí diagnostického algoritmu jsou echokardiografie, scintigrafie s kostními izotopy a vyloučení monoklonální gamapatie pomocí stanovení volných řetězců v séru v kombinaci s imunofixací séra a moči. Při významném podezření na ATTR-CM je třeba pacienta časně referovat do specializovaného kardiovaskulárního centra k případnému doplnění CMR či endomyokardiální biopsie a zvážení dalších léčebných možností včetně nasazení adekvátní specifické terapie.

Zkrácené informace o přípravku Beyontra® najdete na stránce 293.

PROHLÁŠENÍ AUTORŮ: Prohlášení o původnosti: Publikace byla zpracována s využitím uvedené literatury a nebyla publikována ani zaslána k recenznímu řízení do jiného média. **Střet zájmů:** Žádný. **Financování:** Podpořeno společností BAYER s.r.o.7/2025 PP-BEY-CZ-0010-1. **Poděkování:** N/A. **Registrace v databázích:** N/A. **Projednání etickou komisí:** N/A.

LITERATURA

- Perugini E, Guidalotti PL, Salvi F, et al. Noninvasive etiologic diagnosis of cardiac amyloidosis using ^{99m}Tc-3,3-diphosphono-1,2-propanodicarboxylic acid scintigraphy. *J Am Coll Cardiol.* 2005;46(6):1076-84.
- Maurer MS, Schwartz JH, Gundapaneni B, et al. Tafamidis Treatment for Patients with Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy. *N Engl J Med.* 2018; 379(11):1007-1016.
- Gertz MA, Benson MD, Dyck PJ, et al. Diagnosis, Prognosis, and Therapy of Transthyretin Amyloidosis. *J Am Coll Cardiol.* 2015;66:2451-2466.
- García-Pavia P, Rapezzi C, Adler Y, et al. Diagnosis and treatment of cardiac amyloidosis: a position statement of the ESC Working Group on Myocardial and Pericardial Diseases. *Eur Heart J.* 2021;42(16):1554-1568.
- Falk RH. Diagnosis and management of the cardiac amyloidoses. *Circulation* 2005; 112:2047-60.
- Pagura L, Porcari A, Cameli M, et al. ECG/echo indexes in the diagnostic approach to amyloid cardiomyopathy: A head-to-head comparison from the AC-TIVE study. *Eur J Intern Med.* 2023;S0953-6205(23)00346-1.
- Gillmore JD, Maurer MS, Falk RH, et al. Nonbiopsy Diagnosis of Cardiac Transthyretin Amyloidosis. *Circulation.* 2016;133(24):2404-12.
- Rauf MU, Hawkins PN, Cappelli F, et al. Tc-99 m labelled bone scintigraphy in suspected cardiac amyloidosis. *Eur Heart J.* 2023;44(24):2187-2198.
- Martinez-Naharro A, Treibel TA, Abdel-Gadir A, et al. Magnetic Resonance in Transthyretin Cardiac Amyloidosis. *J Am Coll Cardiol.* 2017;70(4):466-477.
- González-López E, Gallego-Delgado M, Guzzo-Merello G, et al. Wild-type transthyretin amyloidosis as a cause of heart failure with preserved ejection fraction. *Eur Heart J* 2015;36:2585-94.
- Castaño A, Narotsky DL, Hamid N, et al. Unveiling transthyretin cardiac amyloidosis and its predictors among elderly patients with severe aortic stenosis undergoing transcatheter aortic valve replacement. *Eur Heart J* 2017;38:2879-87.
- Remior-Pérez P, Gómez-Molina M, García-Rodríguez D, et al. Prevalence of Cardiac Amyloidosis Among Elderly Patients With Recent-Onset Atrial Fibrillation: The PREVAL-ATTR Study. *Can J Cardiol.* 2025;41(2):167-177.
- Cannie D, Patel K, Protonotarios A, et al. Prevalence of transthyretin cardiac amyloidosis in patients with high-degree AV block. *Open Heart* 2024;11:e002606.
- Mohamed-Salem L, Santos-Mateo JJ, Sanchez-Serna J, et al. Prevalence of wild type ATTR assessed as myocardial uptake in bone scan in the elderly population. *Int J Cardiol.* 2018;270:192-196.
- Gillmore JD, Judge DP, Cappelli F, et al. Efficacy and safety of acoramidis in transthyretin amyloid cardiomyopathy. *N Engl J Med* 2024;390: 132-42.
- Judge DP, Alexander KM, Cappelli F, et al. Efficacy of Acoramidis on All-Cause Mortality and Cardiovascular Hospitalization in Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy. *J Am Coll Cardiol.* 2025;85(10):1003-1014.
- Judge DP, Gillmore JD, Alexander KM, et al. Long-Term Efficacy and Safety of Acoramidis in ATTR-CM: Initial Report From the Open-Label Extension of the ATTRIBUTE-CM Trial. *Circulation.* 2025;151(9):601-611.
- Maurer MS, Judge DP, Gillmore JD, et al. Early Increase in Serum Transthyretin by Acoramidis Independently Predicts Improved Survival in TTR Amyloid Cardiomyopathy. *J Am Coll Cardiol.* 2025;85(20):1911-1923.
- Fontana M, Berk JL, Gillmore JD, et al. HELIOS-B Trial Investigators. Lutrisiran in Patients with Transthyretin Amyloidosis with Cardiomyopathy. *N Engl J Med.* 2025; 392(1):33-44.
- Falk RH, Cuddy SAM, Itzhaki Ben Zadok O. Silencers versus stabilizers in amyloid cardiomyopathy. Are we asking the wrong questions? *Eur J Heart Fail.* 2025; 27(4):623-627.