

## **ANVISA aprova uma nova opção para pacientes com Amiloidose ATTR com Cardiomiopatia**

*ONPATTRO® (patisirana sódica) é o primeiro e único medicamento de RNA de interferência (RNAi) aprovado pela Anvisa para o tratamento da cardiomiopatia por amiloidose mediada por transtirretina do tipo selvagem (wtATTR) ou hereditária (hATTR);*

*O medicamento agora está também indicado para preservar a capacidade funcional e a qualidade de vida dos pacientes com acometimento cardíaco.*

São Paulo, [data] — A Alnylam, empresa líder em terapias baseadas em RNA de interferência (RNAi), recebeu autorização da Anvisa (Agência Nacional de Vigilância Sanitária) para ampliar a indicação do seu medicamento ONPATTRO® (patisirana sódica). Agora, ele também é indicado para preservar a capacidade funcional e a qualidade de vida dos pacientes adultos com cardiomiopatia por amiloidose ATTR do tipo selvagem (wtATTR) ou hereditária (hATTR). A patisirana sódica já estava aprovada no Brasil desde 2020 para o tratamento da polineuropatia associada à hATTR em adultos.

“Esse momento é um marco no tratamento da amiloidose com cardiomiopatia e um grande avanço para os pacientes e suas famílias. Essa decisão coloca o Brasil na vanguarda da adoção de terapias inovadoras para doenças raras, oferecendo esperança para muitos pacientes que, até então, tinham opções limitadas de tratamento”, afirma Renan Rosa, Country Lead, Brasil e América Latina, da Alnylam.

“A aprovação da patisirana sódica para amiloidose ATTR com cardiomiopatia representa um avanço significativo para os pacientes brasileiros que convivem com essa condição rara e complexa. Com essa nova opção terapêutica, ampliamos as possibilidades para seu manejo, oferecendo um tratamento inovador baseado em RNAi que visa silenciar o gene causador da doença”, diz o cardiologista Fabio Fernandes, Professor Colaborador Médico no Departamento de Cardiopneumologia da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo (FM-USP).

A amiloidose ATTR, que inclui wtATTR e hATTR, é uma doença subdiagnosticada, progressiva, debilitante e fatal, cujas manifestações cardíacas podem ter um impacto devastador na vida dos pacientes. A ATTR é caracterizada pelo acúmulo de fibrilas amiloides em diversos órgãos e tecidos, incluindo o coração, podendo levar à insuficiência cardíaca. Pacientes com essa condição frequentemente enfrentam um prognóstico desfavorável, com deterioração rápida da função cardíaca e significativo impacto na qualidade de vida. Atualmente, as opções terapêuticas disponíveis são limitadas, e a aprovação de patisirana sódica representa uma nova alternativa para os pacientes acometidos pela doença.

A aprovação da Anvisa baseou-se nos resultados positivos do estudo clínico APOLLO-B, um ensaio de fase 3, multicêntrico e randomizado, que demonstrou que a patisirana

sódica reduz significativamente a progressão da doença, preservando a capacidade funcional e a qualidade de vida em pacientes com cardiomiopatia relacionada à amiloidose ATTR. O estudo incluiu 360 pacientes globalmente, sendo 42 brasileiros, reforçando a relevância dos dados para a população do país.

### **Sobre o RNAi**

O RNA de interferência (RNAi) é um processo celular natural de silenciamento gênico e representa uma das fronteiras mais promissoras na biologia e no desenvolvimento de medicamentos. Sua descoberta foi considerada um “avanço científico revolucionário” e reconhecida com o Prêmio Nobel de Fisiologia ou Medicina em 2006. Ao explorar esse processo biológico, uma nova classe de medicamentos, conhecida como terapias de RNAi, tornou-se realidade. Os pequenos RNAs de interferência (siRNA), que compõem a plataforma terapêutica da Alnylam, atuam silenciando de maneira eficaz o RNA mensageiro (mRNA), impedindo a produção de proteínas associadas a doenças e prevenindo sua ação no organismo. Essa abordagem inovadora tem o potencial de transformar o tratamento de pacientes com doenças genéticas e outras condições médicas.

Patisirana sódica é administrada por via intravenosa e tem como alvo o RNA mensageiro da transtirretina (TTR), reduzindo sua expressão e, conseqüentemente, a produção dessa proteína, antes de ser sintetizada. Esse mecanismo de ação diminui os depósitos amiloides nos tecidos e contribui para o controle da progressão da doença.

“Com essa conquista, o Brasil reafirma seu compromisso com a inovação na saúde e com o acesso a novas opções terapêuticas para doenças tão impactantes e potencialmente fatais, beneficiando pacientes que antes tinham poucas alternativas”, afirma Lisa Duarte, Vice-Presidente Médica da Região de Mercados Emergentes e Parceiros da Alnylam.

### **Sobre ONPATTRO® (patisirana sódica)**

ONPATTRO® (patisirana sódica) é indicado em adultos para o tratamento da amiloidose hereditária mediada por transtirretina (amiloidose hATTR) com polineuropatia em estágio 1 ou 2 e para o tratamento da cardiomiopatia por amiloidose mediada por transtirretina do tipo selvagem (amiloidose wtATTR) ou amiloidose hATTR. A dose recomendada de ONPATTRO® é de 0,3 mg/kg, administrada por infusão intravenosa (IV) uma vez a cada três semanas. A definição da dose é feita com base no peso corporal real.

Foram observadas reações relacionadas à infusão (RRIs) em pacientes tratados com ONPATTRO®; por isso, todos os pacientes devem receber uma pré-medicação (corticosteroides, paracetamol e bloqueadores H1 e H2) antes da administração, a fim de reduzir o risco de RRIs. ONPATTRO® pode reduzir a vitamina A sérica, sendo recomendada sua suplementação. ONPATTRO® é contraindicado para pacientes com histórico de hipersensibilidade grave à patisirana ou a qualquer um dos excipientes.

Reações adversas com o uso de ONPATTRO® incluem:

- **Muito comuns:** reação relacionada à infusão (artralgia ou dor, rubor, náuseas, dor abdominal, dispneia ou tosse, desconforto torácico ou dor no peito, dor de cabeça, prurido, erupção cutânea, arrepios, tonturas, fadiga, aumento da frequência cardíaca ou palpitações, hipotensão [que pode incluir síncope], hipertensão e edema facial) e edema periférico.
- **Comuns:** bronquite, sinusite, rinite, vertigem, dispneia, dispepsia, eritema, artralgia e espasmos musculares.

## VENDA SOB PRESCRIÇÃO MÉDICA

Registrado pela Specialty Pharma Goiás Ltda. Serviço ao Consumidor (SAC): 0800-0474597 | MS 1.9361.0001 | 02/2025

## Sobre a Alnylam Pharmaceuticals

A Alnylam Pharmaceuticals (Nasdaq: ALNY) liderou a tradução do RNA de interferência (RNAi) para uma nova classe de medicamentos inovadores, com o potencial de transformar a vida de pessoas afetadas por doenças raras e prevalentes que possuem necessidades médicas não atendidas. Baseadas em uma ciência reconhecida com o Prêmio Nobel, as terapias de RNAi representam uma abordagem poderosa e clinicamente validada, resultando em medicamentos transformadores. Desde sua fundação em 2002, a Alnylam tem liderado a Revolução do RNAi e continua a concretizar sua visão de transformar possibilidades científicas em realidade. Para mais informações sobre nossa equipe, ciência e pipeline, visite [www.alnylam.com.br](http://www.alnylam.com.br) e acompanhe nossas atualizações no X (antigo Twitter) @Alnylam, além do LinkedIn, Facebook e Instagram.