Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de acoramidis (Beyonttra®) para el tratamiento de la amiloidosis por transtiretina de tipo nativa o variante en pacientes adultos con miocardiopatía (ATTR-CM).

Fecha de publicación: 21 de julio de 2025

¿Qué es acoramidis y para qué se utiliza?

Beyonttra® es un medicamento que contiene el principio activo acoramidis. El titular de la autorización de comercialización en la Unión Europea es BridgeBio Europe BV. El laboratorio ofertante en España es Bayer Hispania SL.

Beyonttra® es un medicamento que se utiliza en adultos para tratar la miocardiopatía (daño al músculo cardíaco) causada por la amiloidosis por transtiretina variante o de tipo salvaje (ATTR-CM), una enfermedad en la que las proteínas transtiretina (TTR) anormales forman grupos llamados amiloides, que se acumulan principalmente en el corazón.

La amiloidosis variante por transtiretina se produce cuando una mutación en el gen de la proteína TTR provoca su plegamiento incorrecto y la formación de amiloides. En la amiloidosis silvestre por transtiretina no hay mutación genética, pero la proteína TTR se pliega incorrectamente.

El medicamento se presenta en comprimidos que se toman por vía oral dos veces al día.

¿Cómo funciona acoramidis?

En la miocardiopatía hipertrófica asociada a la ATTR, la proteína TTR es inestable y se fragmenta fácilmente en unidades individuales. Estas unidades se pliegan incorrectamente y se aglutinan, formando depósitos de amiloide en el corazón, lo que provoca rigidez cardíaca y dificulta su bombeo sanguíneo.

El principio activo de Beyonttra®, acoramidis, estabiliza la proteína TTR mediante la formación de fuertes enlaces con ciertas partes de la proteína. Esto ayuda a prevenir su descomposición, lo que ralentiza la progresión de la miocardiopatía hipertrófica asociada a la ATTR.

Información básica sobre la autorización

Beyonttra® está autorizado a través del procedimiento centralizado, es decir, tiene una autorización válida para toda la Unión Europea, concedida el 10 de febrero de 2025 por la Comisión Europea tras la opinión favorable del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) el 12 de diciembre de 2024[1].

Conclusiones de la evaluación comparada de Beyonttra®

Beyonttra® se investigó en un estudio principal que incluyó a 632 pacientes con ATTR-CM variante o de tipo salvaje con síntomas de insuficiencia cardíaca. Se demostró que Beyonttra® era más eficaz que el placebo (tratamiento ficticio) para retardar el daño cardíaco causado por la enfermedad.

[1]Puede consultar la información en el siguiente enlace:
https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/beyonttra#authorisation-details

La principal medida de eficacia fue una combinación de cuatro resultados diferentes. Estos incluyeron la tasa de mortalidad general, el número de hospitalizaciones por problemas cardíacos o circulatorios, la variación en los niveles de NT-proBNP (una hormona liberada por el corazón bajo estrés cuyos niveles aumentan durante la insuficiencia cardíaca), así como la variación en la distancia que los pacientes podían caminar en 6 minutos. Beyonttra® se comparó con placebo mediante un método que evaluó la tasa de éxito con base en estos cuatro resultados. Una tasa de éxito más alta significa que un tratamiento ofrece un mayor beneficio que otro.

Tras 30 meses de tratamiento, la tasa de éxito fue de aproximadamente 1,77, lo que significa que quienes recibieron Beyonttra® tuvieron un 77 % más de probabilidades de experimentar un beneficio con Beyonttra® que quienes recibieron placebo. La tasa de mortalidad general fue del 19,3 % para quienes recibieron Beyonttra®, en comparación con el 25,7 % para quienes recibieron placebo. La distancia que los pacientes pudieron caminar en 6 minutos fue, en promedio, de 366 metros con Beyonttra®, en comparación con los 322 metros de promedio con placebo.

Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos, en su sesión de 19 de junio de 2025, acordó proponer a la Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia la inclusión en la prestación farmacéutica del SNS de este medicamento y su financiación para el tratamiento de la amiloidosis por transtiretina de tipo nativa o variante en pacientes adultos con miocardiopatía (ATTR-CM).

La inclusión en la prestación farmacéutica de este medicamento se limita a los pacientes que cumplan las siguientes características:

- Pacientes con la forma nativa (ATTRwt-CM) a partir de 60 años y pacientes con la forma hereditaria (ATTRv-CM) a partir de 45 años.
- Pacientes con fracción de eyección preservada y con evidencia de afectación cardíaca mediante ecocardiografía, con un grosor de la pared del tabique interventricular en la diástole final >12 mm.
- Clase I a III de la New York Heart Association (NYHA).
- Antecedentes de insuficiencia cardíaca, con al menos una hospitalización previa o evidencia clínica de insuficiencia cardíaca (sin hospitalización) que requiriesen tratamiento diurético.
- Fenotipo cardíaco predominante, confirmado mediante genotipado de TTR.
- Gammagrafía nuclear confirmatoria de la transtiretina.
- Test de la marcha de 6 minutos (TM6M) de >100 m.
- Valor de NT-proBNP (péptido natriurético pro-B de tipo N-terminal) >= 300 pg/mL.
- No haber recibido un trasplante de corazón o de hígado.
- No tener implantado un dispositivo de asistencia ventricular.
- No estar recibiendo otros tratamientos modificadores de la enfermedad para la ATTR.

Asimismo, se incluirán los siguientes criterios de interrupción del tratamiento. El tratamiento con acoramidis deberá interrumpirse en aquellos pacientes que:

- progresen a la clase IV de la NYHA, o
- reciban un trasplante de corazón o de hígado, o
- se les implante un dispositivo de asistencia ventricular

Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

Su financiación se limita a la población descrita en el apartado anterior.

Más información

La situación de financiación de los medicamentos puede consultarse a través del buscador BIFIMED, accesible a través de la página del Ministerio de Sanidad, en el siguiente link:

https://www.sanidad.gob.es/profesionales/medicamentos.do

La búsqueda puede realizarse por principio activo, nombre del medicamento o código nacional.

Una vez se accede al medicamento en cuestión en el apartado "Más información" aparecen las indicaciones que están financiadas, las que no lo están, así como la fecha de alta en la financiación, entre otros.