

PROGETTO FORMATIVO

L'Era del Silenziamento: Vutrisiran come nuovo paradigma nel trattamento dell'ATTR-CM

↪ <i>Provider ECM:</i>	SUMMEET SRL – ID 604
↪ <i>Data:</i>	02 Luglio 2026
↪ <i>Tipologia:</i>	FAD Sincrona
↪ <i>Piattaforma:</i>	Indirizzo fisico: Summeet Srl via Paolo Maspero, 5 – 21100 Varese Accesso Piattaforma FAD URL http://fad.summeet.it
↪ <i>Obiettivo:</i>	Fornire un aggiornamento ai discenti sui temi emergenti, migliorare le capacità relazionali e comunicative, fare acquisire conoscenze teoriche e pratiche sulle recenti innovazioni, motivare il proprio paziente al proseguimento della terapia e renderlo consapevole dell'elevato rischio che comporta la non prosecuzione o avviamento della stessa
↪ <i>Partecipanti:</i>	200 Medici Chirurghi (Discipline: Cardiologia, Medicina Interna, Geriatria, Neurologia)
↪ <i>Durata - crediti:</i>	2 ore – 3 crediti formativi

RAZIONALE SCIENTIFICO

La cardiomiopatia amiloide da transtiretina (ATTR-CM) è una patologia infiltrativa che comporta la deposizione di fibrille di transtiretina (TTR) a livello miocardico, con progressivo ispessimento parietale e deterioramento funzionale a decorso ingravescente. A lungo sottovalutata, è oggi riconosciuta come una condizione più frequente di quanto storicamente atteso, con una sopravvivenza mediana di 2–5 anni dalla diagnosi, con un ritardo diagnostico medio superiore ai 3 anni dall'esordio sintomatico e con l'assenza di un trattamento specifico, fino ad oggi.

In questo contesto si inserisce vutrisiran, un siRNA che silenzia selettivamente la sintesi epatica di TTR riducendone i livelli plasmatici e interrompendo il substrato molecolare della deposizione amiloide. Il trial HELIOS-B ha valutato l'efficacia e la sicurezza di vutrisiran dimostrando una riduzione significativa della mortalità per tutte le cause e degli eventi cardiovascolari maggiori, configurando per la prima volta un potenziale trattamento disease-modifying nell'ATTR-CM.

Il programma formativo si propone dunque di fornire approfondimenti sul riconoscimento precoce della malattia, sul percorso diagnostico strutturato e sull'integrazione delle evidenze terapeutiche più aggiornate nella pratica clinica quotidiana.

PROGRAMMA SCIENTIFICO

- Ore 16.00** Apertura webinar
- Ore 16.05** **SESSIONE 1 | Fisiopatologia dell'ATTR-CM e Percorso Diagnostico: dai Meccanismi alla Conferma del Caso**
Prof. Gianfranco Sinagra
- Ore 16.35** **SESSIONE 2 | L'RNA-i nell'ATTR-CM: Meccanismo d'Azione tra Innovazione e Tradizione**
Prof.ssa Laura Obici
- Ore 17.05** **SESSIONE 3 | HELIOS-B: Endpoint Clinici e Dati Chiave**
Prof. Marianna Fontana
- Ore 17.35** **SESSIONE 4 | Vutrisiran nel Trattamento dell'ATTR-CM: cosa aspettarsi nella pratica clinica**
Dott.ssa Stefania Marazia
- Ore 18.05** **Considerazioni Conclusive**
Tutti i relatori
- Ore 18.15** Chiusura webinar

ACRONIMI E STUDI CLINICI

ATTR-CM Cardiomiopatia amiloide da transtiretina.

RNA-i RNA a interferenza

siRNA RNA interferente piccolo

TTR Transtiretina

HELIOS-B

Studio di fase 3, multicentrico, randomizzato e in doppio cieco, volto a valutare l'efficacia e la sicurezza di vutrisiran somministrato per via sottocutanea in pazienti affetti da cardiomiopatia amiloide da transtiretina (ATTR-CM). L'obiettivo principale dello studio era dimostrare la riduzione della mortalità per tutte le cause e della frequenza di eventi cardiovascolari ricorrenti. I dati emersi hanno evidenziato come il farmaco sia in grado di agire sul substrato molecolare della malattia, migliorando la sopravvivenza e la qualità della vita dei pazienti rispetto al placebo, configurandosi come una terapia "disease-modifying" (capace di modificare il decorso della patologia).

NOME E COGNOME	LAUREA	SPECIALIZZAZIONE	AFFILIAZIONE
Gianfranco Sinagra	Medicina e chirurgia	Cardiologia	Direttore del Dipartimento Cardiovascolare dell'Ospedale Universitario di Trieste
Laura Obici	Medicina e chirurgia	Medicina interna	Responsabile UO Centro Malattie Rare presso la Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo di Pavia
Marianna Fontana	Medicina e chirurgia	Cardiologia	Professor of Cardiology and Honorary Consultant Cardiologist at the National Amyloidosis Centre, Division of Medicine, University College London
Stefania Marazia	Medicina e chirurgia	Cardiologia	Dirigente medico UO Cardiologia e UTIC dell'Ospedale Vito Fazzi di Lecce