



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/398760/2025
EMA/H/C/006228

Myqorzo (*aficamten*)

En oversigt over Myqorzo, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Myqorzo, og hvad anvendes det til?

Myqorzo er et lægemiddel, der anvendes til behandling af voksne med obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati (oHCM), en sygdom, hvor musklen i hjertets hovedpumpekammer bliver fortykket eller forstørret, hvilket kan blokere blodgennemstrømningen fra hjertet til resten af kroppen. Dette kan medføre åndenød, bryst smerter, svimmelhed og hjertebanken.

Det anvendes hos voksne, der har symptomer på sygdommen (klasse II eller klasse III oHCM). "Klasse" afspejler sygdommens sværhedsgrad: klasse II indebærer et let begrænset fysisk aktivitetsniveau, mens klasse III indebærer et udtalt begrænset fysisk aktivitetsniveau.

Myqorzo indeholder det aktive stof aficamten.

Hvordan anvendes Myqorzo?

Myqorzo fås kun på recept, og behandling bør indledes og overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af kardiomyopati.

Lægemidlet fås som tabletter, der tages gennem munden én gang dagligt. Før behandling indledes, vil lægen udføre et ekkokardiogram for at vurdere patientens hjertefunktion. Dette er en diagnostisk test, hvor hjertet afbildes ved hjælp af ultralyd. Ved behandlingens start justeres dosen på grundlag af resultaterne af ekkokardiogrammer udført hver 2.-8. uge, indtil den bedst egnede dosis er fundet. Når patienter er på en stabil dosis Myqorzo, vil disse ekkokardiogrammer blive udført hver 3. til 6. måned.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Myqorzo, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Myqorzo?

Hos personer med obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati trækker hjertemusklen sig kraftigt sammen og bliver unormalt tyk. Dette kan indsnævre det område, som blodet forlader hjertet igennem, og reducere blodgennemstrømningen.

Det aktive stof i Myqorzo, aficamten, blokerer delvist hjertemyosin, et protein, der driver hjertesammentrækningen. Ved at begrænse overdreven sammentrækning giver lægemidlet hjertet mulighed for at slappe mere af og forbedrer blodgennemstrømningen ud af hjertet. Dette hjælper

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



hjertet med at pumpe blod mere effektivt og kan lindre symptomerne på obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Myqorzo?

Et hovedstudie viste, at Myqorzo forbedrer evnen til at udføre fysisk aktivitet og livskvaliteten hos patienter med klasse II eller klasse III oHCM og mindsker sandsynligheden for, at de vil få brug for en større hjerteprocedure kaldet septal reduktionsbehandling. Denne procedure reducerer størrelsen af den fortykkede hjertemuskel gennem kirurgi eller ved hjælp af et kateter (et tyndt rør, der føres gennem en arterie ind i hjertet).

Hovedstudiet omfattede 282 voksne, der fik enten Myqorzo eller placebo (en uvirksom behandling). Deltagernes evne til at udføre fysisk aktivitet blev målt med pVO₂max (det maksimale iltforbrug under fysisk aktivitet). Det hjælper med at forstå, hvor godt hjertet kan pumpe blod for at levere ilt til andre dele af kroppen. En højere pVO₂max indikerer en bedre fysisk kapacitet. Efter 24 ugers behandling oplevede de personer, der fik Myqorzo, en gennemsnitlig stigning i deres pVO₂max på 1,76 ml ilt pr. kg legemsvægt pr. minut sammenlignet med 0,02 hos dem, der fik placebo.

Efter 24 ugers behandling blev færre patienter i behandling med Myqorzo anset for at have behov for septal reduktionsbehandling – ca. 13 % (4 ud af 32) af de patienter, der fik Myqorzo, sammenlignet med 48 % (14 ud af 29) af de patienter, der fik placebo.

Livskvaliteten blev målt ved hjælp af KCCQ-CCS-spørgeskemaet, der evaluerer, hvordan hjertesygdomme påvirker en persons symptomer og daglige fysiske aktiviteter. En højere score betyder færre symptomer og bedre fysisk funktion. Efter 24 ugers behandling rapporterede ca. 49 % af de patienter, der var i behandling med Myqorzo, om en stigning på mindst 10 point, sammenlignet med 27 % af de patienter, der fik placebo. En stigning på 10 point anses for at være en meningsfuld forbedring af symptomerne og de daglige aktiviteter. Samlet set forbedredes livskvalitetsscorerne i gennemsnit med 11,6 point for Myqorzo, sammenlignet med 4,3 point for placebo.

Hvilke risici er der forbundet med Myqorzo?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Myqorzo fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Myqorzo (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 personer) omfatter svimmelhed, systolisk dysfunktion (en tilstand, hvor hjertet ikke kan pumpe med tilstrækkelig kraft), hjertebanken (en kraftig hjerterytme, der kan være hurtig eller uregelmæssig) og forhøjet blodtryk.

Myqorzo må ikke anvendes hos personer, der får visse lægemidler, der påvirker nedbrydningen af Myqorzo i kroppen, f.eks. adagrasib (et lægemiddel til behandling af visse kræftformer), mere end en enkelt dosis fluconazol (et lægemiddel til behandling af svampeinfektioner), rifampicin (et antibiotikum til behandling af infektioner som tuberkulose) og prikket perikon (et urtebaseret kosttilskud brugt mod depression).

Hvorfor er Myqorzo godkendt i EU?

Et studie viste, at Myqorzo hjælper patienter med klasse II eller klasse III obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati med at udføre fysisk aktivitet og forbedrer deres livskvalitet. Behandling med Myqorzo reducerede også sandsynligheden for, at patienter ville få brug for septal reduktionsbehandling, en vigtig hjerteprocedure, der indebærer betydelige risici. Der hersker en vis usikkerhed med hensyn til, hvor godt Myqorzo virker efter 24 ugers behandling, og virksomheden vil fremlægge yderligere data for at bekræfte de langsigtede fordele ved lægemidlet.

Myqorzo tolereres generelt godt. Der hersker en vis usikkerhed med hensyn til de langsigtede virkninger af Myqorzo på hjertet, og der er behov for yderligere data for at bekræfte dets langsigtede sikkerhed.

Der foreligger kun begrænsede data om, hvorvidt Myqorzo kan skade et ufødt barn eller overføres via modermælken og påvirke et barn, men ud fra hvordan lægemidlet virker, er skadelige virkninger en mulighed. Der er derfor medtaget en advarsel og vejledning i produktinformationen.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Myqorzo opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Myqorzo anvendes sikkert og effektivt?

Virksomheden, der markedsfører Myqorzo, vil udlevere en informationspakke til læger og et patientkort til patienter. Denne informationspakke indeholder oplysninger om risikoen for skade på et ufødt barn og behovet for at anvende effektiv prævention under behandlingen. De vil også fremhæve risikoen for hjertesvigt (når hjertet ikke pumper blod så godt, som det burde), behovet for regelmæssige hjertekontroller og vigtigheden af straks at søge lægehjælp, hvis der opstår symptomer som åndenød, brystmerter, træthed, hævede ben eller en alvorlig infektion. Patienterne rådes også til at informere deres ordinerende læge, inden de starter, stopper eller skifter til et andet lægemiddel.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Myqorzo anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Myqorzo løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Myqorzo vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Myqorzo

Yderligere information om Myqorzo findes på agenturets websted:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/myqorzo.