



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Myqorzo (*afikamteeni*)

Yleistiedot Myqorzosta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

### Mitä Myqorzo on ja mihin sitä käytetään?

Myqorzo on lääke, jota käytetään aikuisilla obstruktiivisen hypertrofisen (oHCM) hoitoon. Sairaudessa verta elimistöön pumppaavan sydämen kammion lihas paksuntuu tai laajentuu, mikä voi estää veren virtausta sydäimestä muualle elimistöön. Tämä voi aiheuttaa hengenahdistusta, rintakipua, heikotusta ja sydämentykytystä.

Valmistetta annetaan aikuisille, joiden tauti oireilee (luokka II tai luokka III). Toimintakykyluokka kuvaa sairauden vakavuutta. Luokassa II potilaiden fyysinen toimintakyky on jonkin verran heikentynyt ja luokassa III se on heikentynyt merkittävästi.

Myqorzon vaikuttava aine on afikamteeni.

### Miten Myqorzoa käytetään?

Myqorzoa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa vain lääkäri, jolla on kokemusta kardiomyopatian hoidosta, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa.

Lääkettä on saatavana tablettina, joka otetaan suun kautta kerran vuorokaudessa. Ennen hoidon aloittamista lääkäri tekee kaikukardiogrammin sydämen toiminnan arvioimiseksi. Kyseessä diagnostisessa testissä sydäimestä saadaan kuva ultraääntä käyttäen. Hoidon alussa annosta muutetaan 2–8 viikon välein tehtyjen kaikukardiogrammien tulosten perusteella, kunnes sopivin annos löytyy. Kun potilaiden Myqorzo-annos on vakaa, kaikukardiogrammit toistetaan 3–6 kuukauden välein.

Lisätietoja Myqorzon käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

### Miten Myqorzo vaikuttaa?

Obstruktiivista hypertrofista kardiomyopatiaa sairastavien potilaiden sydänlihas supistuu voimakkaasti ja muuttuu epätavallisen paksuksi. Tämä voi supistaa tilaa, josta veri etenee sydäimestä muualle kehoon, jolloin verenvirtaus vähenee.

Myqorzon vaikuttava aine afikamteeni estää osittain sydämen myosiinin toimintaa, joka on sydämen supistumista edistävä proteiini. Hillitsemällä sydämen liiallista supistumista lääke rentouttaa sydäntä ja voi parantaa verenvirtausta sydäimestä. Tämä auttaa sydäntä pumppaamaan verta tehokkaammin ja voi lievittää obstruktiivisen hypertrofisen kardiomyopatian oireita.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



## Mitä hyötyä Myqorzoista on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimus osoitti, että Myqorzo parantaa luokan II tai III oHCM-potilaiden toimintakykyä ja elämänlaatua sekä vähentää todennäköisyyttä sille, että he tarvitsevat septaalisen reduktion, joka on suuri sydämeen kohdistuva toimenpide. Se tehdään kirurgisesti tai käyttämällä katetria (ohut putki, joka kulkee valtimon kautta sydämeen), ja siinä pienennetään paksuuntuneen sydänlihaksen kokoa.

Päätutkimukseen osallistui 282 aikuista, jotka saivat joko Myqorzoa tai lumelääkettä. Osallistujien fyysistä suoriutumista mitattiin pVO<sub>2</sub>max-arvoa käyttäen (liikuntasuorituksen aikana käytetty hapen enimmäismäärä). Se kuvastaa, miten hyvin sydän pumppaa verta hapen viemiseksi muualle kehoon. Suurempi pVO<sub>2</sub>max viittaa parempaan fyysiseen toimintakykyyn. Myqorzoa saaneiden potilaiden pVO<sub>2</sub>max-arvo nousi 24 viikkoa kestäneen hoidon jälkeen keskimäärin 1,76 ml:aan happea kehon painokiloa kohti minuutissa. Lumelääkettä saaneiden vastaava arvo oli 0,02.

Myqorzo-hoitoa saaneista potilaista katsottiin, että pienempi määrä potilaita tarvitsi septaalisen reduktion 24 viikkoa kestäneen hoidon jälkeen. Osuus Myqorzoa saaneista potilaista oli noin 13 prosenttia (4 potilasta 32:sta), kun lumelääkettä saaneiden vastaava osuus oli 48 prosenttia (14 potilasta 29:stä).

Elämänlaatua mitattiin KCCQ-CCS-kyselyllä, jossa arvioidaan, miten sydänsairaus vaikuttaa henkilön oireisiin ja päivittäiseen fyysiseen toimintaan. Suuremmat pisteet tarkoittavat oireiden vähenemistä ja parempaa fyysistä toimintakykyä. Noin 49 prosenttia Myqorzo-hoitoa saaneista potilaista ilmoitti vähintään 10 pisteen parannuksesta toimintakyvyssään 24 viikon hoidon jälkeen, kun vastaava osuus lumelääkettä saaneista potilaista oli 27 prosenttia. Kymmenen pisteen lisäystä pidetään merkittävänä paranemisena oireissa ja päivittäisessä toimintakyvyssä. Kaikkineen elämänlaatu parani Myqorzo-potilailla keskimäärin 11,6 pistettä, kun lumelääkkeellä vastaava luku oli 4,3 pistettä.

## Mitä riskejä Myqorzoon liittyy?

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Myqorzon haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Myqorzon yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua enintään yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat huimaus, systolinen toimintahäiriö (jossa sydän ei pysty pumppaamaan verta tarpeeksi suurella voimalla), sydämentykytyks (voimakas syke, joka voi olla nopea tai epäsäännöllinen) ja korkea verenpaine.

Myqorzoa ei saa antaa henkilöille, jotka käyttävät tiettyjä Myqorzon hajoamiseen elimistössä vaikuttavia lääkkeitä. Niitä ovat esimerkiksi adagrasibi (joidenkin syöpien hoitoon käytettävä lääke), flukonatsoli otettuna useampana kuin yhtenä annoksena (sieni-infektioiden hoitoon käytettävä lääke), rifampisiini (infektioiden, kuten tuberkuloosin, hoitoon käytettävä antibiootti) ja mäkikuisma (rohdosvalmiste masennuksen hoitoon).

## Miksi Myqorzo on hyväksytty EU:ssa?

Tutkimus osoitti, että Myqorzo hyödyttää potilaita, joilla on luokan II tai III obstruktiivinen hypertrofinen kardiomyopatia, ja parantaa heidän elämänlaatuaan. Myqorzo-hoito vähensi myös todennäköisyyttä sille, että potilaat tarvitsisivat septaalisen reduktion. Se on suuri sydämeen kohdistuva toimenpide, johon liittyy merkittäviä riskejä. Siitä, miten hyvin Myqorzo vaikuttaa 24 viikon hoidon jälkeen, on jonkin verran epävarmuutta, ja yhtiö toimittaa lisätietoja lääkkeen pitkän aikavälin hyötyjen vahvistamiseksi.

Myqorzo on yleensä hyvin siedetty. Myqorzon pitkän aikavälin vaikutuksista sydämeen on jonkin verran epävarmuutta, ja sen pitkän aikavälin turvallisuuden vahvistamiseksi tarvitaan lisätietoja.

On vain vähän tietoa siitä, voiko Myqorzo vahingoittaa sikiötä tai vaikuttaa rintamaidon kautta lapseen, mutta lääkkeen vaikutustavan perusteella haittavaikutukset ovat mahdollisia. Sen vuoksi valmistetietoihin on sisällytetty varoitus ja ohjeita.

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Myqorzosta saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

## **Miten voidaan varmistaa Myqorzon turvallinen ja tehokas käyttö?**

Myqorzoa markkinoiva yhtiö toimittaa lääkäreille tietopaketin ja potilaille potilaskortin. Tietopaketti sisältää tietoa syntymättömälle lapselle aiheutuvan haitan riskistä ja tarpeesta käyttää tehokasta ehkäisyä hoidon aikana. Siinä tuodaan esiin myös sydämen vajaatoiminnan riski (sydän ei pumpkaa verta riittävän hyvin), tarve tarkistaa säännöllisesti sydämen toiminta ja se, että on tärkeää hakeutua välittömästi lääkäriin, jos ilmenee esimerkiksi hengenahdistusta, rintakipua, väsymystä, jalkojen turvotusta tai vakavan infektion oireita. Potilaita kehoitetaan myös kertomaan lääkkeen määränneelle lääkärille ennen kuin aloittaa tai lopettaa minkään muun lääkkeen käytön taikka vaihtaa lääkettä.

Suosituksiset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Myqorzon käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Myqorzon käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Myqorzosta ilmoitetut epäillyt haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

## **Muita tietoja Myqorzosta**

Lisää tietoa Myqorzosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/myqorzo](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/myqorzo).