



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Myqorzo (*aficamten*)

A Myqorzo-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

### Milyen típusú gyógyszer a Myqorzo és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Myqorzo felnőtteknél az obstruktív hipertrófiás kardiomiopátia (oHCM) kezelésére alkalmazott gyógyszer. E betegség során a szív fő pumpáló kamrájában az izom megvastagodik vagy megnagyobbodik, ami gátolhatja a vér áramlását a szívből a szervezet többi részébe. Ez légszomjat, mellkasi fájdalmat, ájulásérzést és szívdobogásérzést okozhat.

A gyógyszert olyan felnőtteknél alkalmazzák, akiknél a betegség tünetei jelentkeznek (II. vagy III. osztályú oHCM). Az osztály a betegség súlyosságát tükrözi: a II. osztály a testmozgás enyhe korlátozását, a III. osztály pedig a testmozgás jelentős korlátozását foglalja magában.

A Myqorzo hatóanyaga az aficamten.

### Hogyan kell alkalmazni a Myqorzo-t?

A Myqorzo csak receptre kapható, és a kezelést a kardiomiopátia kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A gyógyszer tabletta formájában kapható, amelyet szájon át, naponta egyszer kell bevenni. A kezelés megkezdése előtt a kezelőorvos echokardiogramot készít a beteg szív működésének értékelésére. Ez egy diagnosztikai vizsgálat, amelynek során ultrahanggal kapnak képet a szívről. A kezelés megkezdésekor az adagot a 2–8 hetente elvégzett echokardiogramok eredményei alapján kiigazítják, amíg a legmegfelelőbb adagot nem találják. Amint a betegek stabil adagot kapnak a Myqorzo-ból, ezeket az echokardiogramokat 3–6 havonta kell elvégezni.

A Myqorzo alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

### Hogyan fejti ki hatását a Myqorzo?

Obstruktív hipertrófiás kardiomiopátiában szenvedőknél a szívizom erősen összehúzódik és rendellenesen vastagodik. Ez szűkítheti azt a teret, amelyen keresztül a vér elhagyja a szívet, és lecsökkentheti a véráramlást.

**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



A Myqorzo hatóanyaga, az aficamten részben gátolja a szívben a miozin nevű fehérjét, amely a szívösszehúzódást vezérli. A túlzott összehúzódás korlátozásával a gyógyszer lehetővé teszi a szív számára, hogy jobban elernyedjen, és ezáltal fokozza a véráramlást a szívből. Ez segíti a szív hatékonyabb vérpumpálását, és enyhíti az obstruktív hipertrófiás kardiomiopátia tüneteit.

## **Milyen előnyei voltak a Myqorzo alkalmazásának a vizsgálatok során?**

Egy fő vizsgálat azt mutatta, hogy a Myqorzo javítja a II. vagy III. osztályba tartozó oHCM-ben szenvedő betegek testmozgási képességét és életminőségét, és csökkenti annak valószínűségét, hogy szeptális redukciós terápiának nevezett jelentős szív működési eljárásra lesz szükségük. Ez az eljárás műtét vagy katéter (az artérián keresztül a szívbe vezetett vékony cső) segítségével csökkenti a megvastagodott szívizom méretét.

A fő vizsgálatban 282 felnőtt vett részt, akik Myqorzo-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kaptak. A résztvevők fizikai teljesítőképességét pVO<sub>2</sub>max (a terhelés során felhasznált oxigén maximális térfogata) értékkel mérték. Segít megérteni, hogy a szív mennyire megfelelően képes vért pumpálni ahhoz, hogy oxigént szállítson a test más részeibe, és a magasabb pVO<sub>2</sub>max érték jobb fizikai teljesítőképességet jelez. 24 hetes kezelést követően a Myqorzo-t szedő betegeknél a pVO<sub>2</sub>max átlagosan 1,76 ml oxigén/testtömeg-kilogramm/perc mértékben növekedett, szemben a placebót kapó betegeknél mért 0,02 ml-rel.

24 hetes kezelést követően kevesebb Myqorzo-val kezelt beteget ítétek szeptális redukciós terápiára szorulóknak: a Myqorzo-t szedő betegek körülbelül 13%-ánál (32-ből 4), míg a placebót szedő betegeknél ez az arány 48% (29-ből 14) volt.

Az életminőséget a KCCQ-CCS kérdőív segítségével mérték, amely azt értékeli, hogy a szívbetegség hogyan befolyásolja az adott személy tüneteit és a napi fizikai tevékenységeket. A magasabb pontszámok kevesebb tünetet és jobb fizikai funkciót jelentenek. 24 hetes kezelést követően a Myqorzo-val kezelt betegek mintegy 49%-a számolt be legalább 10 százalékpontos növekedésről, szemben a placebóval kezelt betegek 27%-ával. A 10 százalékpontos növekedés a tünetek és a napi tevékenységek jelentős javulásának tekinthető. Az életminőségi pontszámok összességében átlagosan 11,6 ponttal javultak a Myqorzo esetében, míg a placebo esetében ez az érték 4,3 pont volt.

## **Milyen kockázatokkal jár a Myqorzo alkalmazása?**

A Myqorzo alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Myqorzo leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a szédülés, a szisztolés diszfunkció (egy olyan betegség, amelyben a szív nem képes elegendő erővel pumpálni), a szívdobogásérzés (erős szívverés, amely gyors vagy rendszertelen lehet) és a magas vérnyomás.

A Myqorzo nem alkalmazható olyan személyeknél, akik olyan gyógyszereket szednek, amelyek befolyásolják a Myqorzo lebomlásának módját a szervezetben, mint például az adagrazib (egyes daganatok kezelésére alkalmazott gyógyszer), a flukonazol (a gombás fertőzések kezelésére alkalmazott gyógyszer), a rifampicin (a tuberkulózishoz hasonló fertőzések kezelésére alkalmazott antibiotikum) és az orbáncfű (a depresszió kezelésére alkalmazott gyógynövény-kiegészítő).

## **Miért engedélyezték a Myqorzo forgalomba hozatalát az EU-ban?**

Egy vizsgálat azt mutatta, hogy a Myqorzo segít a II. vagy III. osztályba tartozó obstruktív hipertrófiás kardiomiopátia gyakorlatban szenvedő betegeknek, és javítja életminőségüket. A Myqorzo-val végzett kezelés csökkentette annak valószínűségét is, hogy a betegeknek szeptális redukciós terápiára lenne

szükségük, amely egy jelentős kockázatokkal járó, jelentős szívműködési eljárás. Van némi bizonytalanság azzal kapcsolatban, hogy a Myqorzo mennyire hatásos a 24 hetes kezelést követően, és a vállalat további adatokat fog benyújtani a gyógyszer hosszú távú előnyeinek megerősítésére.

A Myqorzo általában jól tolerálható. Némi bizonytalanság övezi a Myqorzo szívre gyakorolt hosszú távú hatásait, és további adatokra van szükség a hosszú távú biztonságosságának megerősítéséhez.

Korlátozott mennyiségű adat áll rendelkezésre arra vonatkozóan, hogy a Myqorzo károsíthatja-e a születendő gyermeket, vagy átjut-e az anyatejbe annak érdekében, hogy hatással legyen a gyermekre, de a gyógyszer hatása alapján káros hatások lehetségesek. Ezért a kísérőirat figyelmeztetést és iránymutatást tartalmaz.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Myqorzo alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, és alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban a Myqorzo biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

A Myqorzo-t forgalmazó vállalat tájékoztató csomagot fog biztosítani az orvosok számára, valamint betegkártyát a betegek számára. Ez a tájékoztató csomag információkat tartalmaz a születendő gyermek károsodásának kockázatáról, valamint arról, hogy a kezelés során hatékony fogamzásgátlást kell alkalmazni. A mellékhatások továbbá felhívják a figyelmet a szívelégtelenség kockázatára (amikor a szív nem pumpálja megfelelően a vért), a szív rendszeres ellenőrzésének szükségességére, valamint annak fontosságára, hogy azonnal orvoshoz kell fordulni, ha olyan tünetek jelentkeznek, mint a légszomj, mellkasi fájdalom, fáradtság, lábduzzanat vagy súlyos fertőzés. A betegeknek azt is tanácsolják, hogy tájékoztassák a felíró orvosukat bármely más gyógyszer elkezdése, leállítása vagy módosítása előtt.

A Myqorzo biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a beteg tájékoztatóban.

A Myqorzo alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Myqorzo alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

## **A Myqorzo-val kapcsolatos egyéb információ**

A Myqorzo-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/myqorzo](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/myqorzo).