



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Myqorzo (*aficamten*)

Sintesi di Myqorzo e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Myqorzo e per cosa si usa?

Myqorzo è un medicinale usato per il trattamento di adulti affetti da cardiomiopatia ipertrofica ostruttiva (CMIO), una malattia in cui il muscolo della camera di pompaggio principale del cuore si ispessisce e si ingrossa, con conseguente blocco del flusso di sangue che va dal cuore al resto dell'organismo. Tale situazione può causare respiro affannoso, dolore toracico, sensazione di svenimento e palpitazioni.

È usato negli adulti che presentano sintomi della malattia (CMIO, classe II-III). La classe riflette la gravità della malattia: la classe II denota una leggera limitazione dell'attività fisica e la classe III ne comporta una limitazione marcata.

Myqorzo contiene il principio attivo aficamten.

Come si usa Myqorzo?

Myqorzo può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato e controllato da un medico esperto nel trattamento della cardiomiopatia.

Il medicinale è disponibile sotto forma di compresse, da assumere per via orale una volta al giorno. Prima di iniziare il trattamento, il medico effettuerà un ecocardiogramma per valutare la funzione cardiaca del paziente. Si tratta di un test diagnostico in cui si ottiene un'immagine del cuore mediante ultrasuoni. All'inizio del trattamento, la dose sarà adeguata sulla base dei risultati degli ecocardiogrammi effettuati ogni 2-8 settimane, fino a individuare la dose più appropriata. Una volta stabilizzata la dose di Myqorzo, gli ecocardiogrammi saranno eseguiti ogni 3-6 mesi.

Per maggiori informazioni sull'uso di Myqorzo, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Myqorzo?

Nelle persone con cardiomiopatia ipertrofica ostruttiva, il muscolo cardiaco si contrae con forza e si ispessisce in modo anomalo. Questo può restringere il passaggio attraverso cui il sangue esce dal cuore e ridurre il flusso sanguigno.



Il principio attivo di Myqorzo, aficamten, blocca in parte la miosina cardiaca, una proteina che determina la contrazione del cuore. Limitando l'eccessiva contrazione, il medicinale consente al cuore di rilassarsi e migliora il flusso di sangue in uscita dal cuore. Ciò aiuta il cuore a pompare il sangue in modo più efficace e può alleviare i sintomi della cardiomiopatia ipertrofica ostruttiva.

Quali benefici di Myqorzo sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale ha dimostrato che Myqorzo migliora la capacità di svolgere attività fisica e la qualità di vita dei pazienti con CMIO di classe II o III, riducendo anche la probabilità che debbano sottoporsi a un importante intervento cardiaco chiamato terapia di riduzione settale. Questa procedura riduce le dimensioni del muscolo cardiaco ispessito attraverso un intervento chirurgico o l'uso di un catetere (un tubicino introdotto in un'arteria fino a raggiungere il cuore).

Lo studio principale è stato condotto su 282 adulti che avevano assunto Myqorzo o placebo (un trattamento fittizio). La capacità dei partecipanti di svolgere attività fisica è stata valutata tramite il pVO₂max (il volume massimo di ossigeno utilizzato durante l'esercizio). Questo parametro aiuta a capire quanto efficacemente il cuore riesca a pompare sangue per fornire ossigeno alle altre parti del corpo: valori più elevati di pVO₂max indicano una migliore capacità fisica. Dopo 24 settimane di trattamento, i soggetti trattati con Myqorzo avevano registrato un aumento medio del pVO₂max di 1,76 millilitri di ossigeno per chilogrammo di peso corporeo al minuto, rispetto a 0,02 nei soggetti ai quali era stato somministrato placebo.

Dopo 24 settimane di trattamento, per un numero inferiore di pazienti trattati con Myqorzo è stata considerata necessaria la terapia di riduzione settale: circa il 13 % (4 su 32) dei pazienti in trattamento con Myqorzo, rispetto al 48 % (14 su 29) dei pazienti che hanno assunto placebo.

La qualità di vita è stata valutata tramite il questionario KCCQ-CCS, che misura l'impatto della malattia cardiaca sui sintomi e sulle attività fisiche quotidiane della persona: punteggi più alti indicano meno sintomi e una migliore funzionalità fisica. Dopo 24 settimane di trattamento, circa il 49 % dei pazienti trattati con Myqorzo ha riferito un aumento di almeno 10 punti, rispetto al 27 % di quelli che hanno assunto placebo. Un aumento di 10 punti è considerato un miglioramento significativo dei sintomi e delle attività quotidiane. Nel complesso, i punteggi relativi alla qualità di vita sono migliorati in media di 11,6 punti con Myqorzo, rispetto a 4,3 punti con placebo.

Quali sono i rischi associati a Myqorzo?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Myqorzo, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Myqorzo (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) comprendono capogiro, disfunzione sistolica (un'affezione in cui il cuore non può pompare con sufficiente forza), palpitazioni (battito cardiaco accelerato o irregolare) e pressione sanguigna elevata.

Myqorzo non deve essere usato in soggetti che assumono determinati medicinali che incidono sulla sua degradazione nell'organismo, come adagrasib (un medicinale utilizzato per il trattamento di determinati tumori), più di una singola dose di fluconazolo (un medicinale utilizzato per il trattamento delle infezioni fungine), rifampicina (un antibiotico utilizzato per il trattamento di infezioni come la tubercolosi) e l'erba di San Giovanni (un integratore vegetale utilizzato per la depressione).

Perché Myqorzo è autorizzato nell'UE?

Uno studio ha dimostrato che Myqorzo aiuta i pazienti con cardiomiopatia ipertrofica ostruttiva di classe II o III a migliorare la capacità di esercizio fisico e la qualità di vita. Il trattamento con Myqorzo

ha inoltre ridotto la probabilità che i pazienti dovessero ricorrere alla terapia di riduzione settale, un importante intervento cardiaco che comporta rischi significativi. Vi sono alcune incertezze sull'efficacia di Myqorzo oltre le 24 settimane di trattamento e la ditta fornirà ulteriori dati per confermare i benefici a lungo termine del medicinale.

Myqorzo è generalmente ben tollerato. Esiste incertezza sugli effetti a lungo termine di Myqorzo sul cuore e sono necessari ulteriori dati per confermarne la sicurezza nel lungo periodo.

I dati sono limitati riguardo alla possibilità che Myqorzo causi danni al feto o passare nel latte materno e nuocere al bambino; tuttavia, in base al meccanismo d'azione del medicinale, non sono da escludere effetti nocivi. È stata pertanto inserita un'avvertenza con relative indicazioni nelle informazioni sul prodotto.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Myqorzo sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Myqorzo?

La ditta che commercializza Myqorzo fornirà un pacchetto informativo per i medici e una scheda per i pazienti. Questo pacchetto informativo include informazioni sul rischio di danni al feto e sulla necessità di utilizzare un metodo contraccettivo efficace durante il trattamento. Verranno evidenziati inoltre il rischio di insufficienza cardiaca (quando il cuore non pompa sangue come dovrebbe), la necessità di controlli cardiaci periodici e l'importanza di rivolgersi immediatamente a un medico in caso di sintomi quali respiro affannoso, dolore toracico, stanchezza, gonfiore delle gambe o infezione grave. Si consiglia altresì ai pazienti di informare il medico che prescrive il medicinale prima di iniziare, interrompere o cambiare qualsiasi altro medicinale.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Myqorzo sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Myqorzo sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Myqorzo sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Myqorzo

Ulteriori informazioni su Myqorzo sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/myqorzo.