



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Myqorzo (*afikamten*)

Przegląd wiedzy na temat leku Myqorzo i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Myqorzo i w jakim celu się go stosuje

Myqorzo jest lekiem stosowanym w leczeniu osób dorosłych z kardiomiopatią przerostową z zawężeniem drogi odpływu (ang. *obstructive hypertrophic cardiomyopathy*, oHCM), chorobą, w przebiegu której dochodzi do pogrubienia lub powiększenia mięśnia w głównej komorze pompującej serca, co może blokować przepływ krwi z serca do pozostałej części ciała. Może to powodować duszność, ból w klatce piersiowej, uczucie bliskiego omdlenia i kołatanie serca.

Lek stosuje się u osób dorosłych, u których występują objawy choroby (klasa II lub klasa III oHCM). Klasa choroby odzwierciedla stopień nasilenia: klasa II wiąże się z nieznacznym ograniczeniem aktywności fizycznej, a klasa III wiąże się ze znacznym ograniczeniem aktywności fizycznej.

Substancją czynną zawartą w leku Myqorzo jest afikamten.

Jak stosować lek Myqorzo

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu kardiomiopatii.

Lek ma postać tabletek przyjmowanych doustnie raz na dobę. Przed rozpoczęciem leczenia lekarz przeprowadzi badanie echokardiograficzne w celu oceny pracy serca pacjenta. Jest to badanie diagnostyczne, w którym za pomocą ultradźwięków uzyskuje się obraz serca. Na początku leczenia dawka będzie dostosowywana na podstawie wyników badań echokardiograficznych wykonywanych co 2–8 tygodni, aż do znalezienia odpowiedniej dawki. Gdy pacjent będzie już przyjmował stabilną dawkę leku Myqorzo, badania echokardiograficzne będą wykonywane co 3–6 miesięcy.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Myqorzo znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Myqorzo

U osób z kardiomiopatią przerostową z zawężeniem drogi odpływu mięsień sercowy kurczy się z nadmierną siłą i staje się nieprawidłowo gruby. Może to zawęzić przestrzeń, przez którą krew odpływa z serca, i zmniejszyć przepływ krwi.

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



Substancja czynna zawarta w leku Myqorzo, afikamten, częściowo blokuje działanie miozyny sercowej — białka, które wywołuje skurcz serca. Ograniczając nadmierny skurcz, lek pozwala sercu bardziej się rozluźnić i poprawia odpływ krwi z serca. Pomaga to sercu skuteczniej pompować krew i może złagodzić objawy kardiomiopatii przerostowej z zawężeniem drogi odpływu.

Korzyści ze stosowania leku Myqorzo wykazane w badaniach

W badaniu głównym wykazano, że lek Myqorzo poprawia zdolność do wysiłku fizycznego i jakość życia pacjentów z oHCM klasy II lub III oraz zmniejsza prawdopodobieństwo, że będą oni potrzebować poważnego zabiegu na sercu — zabiegu zmniejszającego grubość przegrody międzykomorowej. Zabieg ten pozwala zmniejszyć wielkość zgrubiałego mięśnia sercowego przez operację lub cewnikowanie (wprowadzenie cienkiej rurki przez tętnicę do serca).

W badaniu głównym uczestniczyły 282 osoby dorosłe, które przyjmowały albo lek Myqorzo, albo placebo (leczenie pozorowane). Zdolność uczestników do wysiłku fizycznego mierzono za pomocą $pVO_2\text{max}$ (maksymalnej objętości tlenu zużywanej podczas wysiłku fizycznego). Parametr ten pomaga określić, jak dobrze serce pompuje krew, by dostarczyć tlen do innych części ciała, a im wyższa wartość $pVO_2\text{max}$, tym wyższa tolerancja wysiłku fizycznego. Po 24 tygodniach leczenia u osób przyjmujących lek Myqorzo nastąpił średni wzrost wartości $pVO_2\text{max}$ o 1,76 mililitra tlenu na kilogram masy ciała na minutę, w porównaniu z 0,02 u osób przyjmujących placebo.

Po 24 tygodniach leczenia lekiem Myqorzo odsetek pacjentów uznawanych za potrzebujących zabiegu zmniejszającego grubość przegrody międzykomorowej był niższy — wynosił około 13% (4 z 32) uwzględnionych pacjentów przyjmujących lek Myqorzo, w porównaniu z 48% (14 z 29) pacjentów przyjmujących placebo.

Jakość życia mierzono za pomocą kwestionariusza KCCQ-CCS, który ocenia, jak choroba serca wpływa na objawy i codzienną aktywność fizyczną, przy czym wyższe wyniki oznaczają mniej objawów i lepszą sprawność fizyczną. Po 24 tygodniach leczenia wzrost o co najmniej 10 punktów odnotowano u około 49% pacjentów leczonych lekiem Myqorzo, w porównaniu z 27% pacjentów otrzymujących placebo. Wzrost o 10 punktów jest uważany za znaczącą poprawę w zakresie występujących objawów i wykonywania codziennych czynności. Ogółem w przypadku leku Myqorzo poprawa wskaźnika jakości życia wynosiła średnio 11,6 punktu, w porównaniu z 4,3 punktu w przypadku placebo.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Myqorzo

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Myqorzo znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Myqorzo (mogące wystąpić u 1 na 10 pacjentów) to: zawroty głowy, dysfunkcja skurczowa (stan, w którym serce nie może pompować z wystarczającą siłą), kołatanie serca (silne bicie serca, które może być szybkie lub nieregularne) oraz nadciśnienie tętnicze.

Leku Myqorzo nie wolno stosować u osób przyjmujących pewne leki, które wpływają na rozkład leku Myqorzo w organizmie, takie jak: adagazyb (lek stosowany w leczeniu niektórych nowotworów), flukonazol w dawce większej niż pojedyncza (lek stosowany w leczeniu zakażeń grzybiczych), ryfampicyna (antybiotyk stosowany w leczeniu zakażeń, takich jak gruźlica) i ziele dziurawca (suplement ziołowy stosowany w leczeniu depresji).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Myqorzo w UE

W badaniu wykazano, że lek Myqorzo pomaga pacjentom z kardiomiopatią przerostową z zawężeniem drogi odpływu klasy II i III oraz poprawia ich jakość życia. Leczenie lekiem Myqorzo zmniejszało również prawdopodobieństwo, że pacjenci będą potrzebowali zabiegu zmniejszającego grubość przegrody międzykomorowej, który jest poważnym zabiegiem na sercu i wiąże się ze znacznym ryzykiem. Istnieją pewne wątpliwości co do skuteczności leczenia lekiem Myqorzo po 24 tygodniach, a firma przekaze dalsze dane w celu potwierdzenia długoterminowych korzyści ze stosowania leku.

Lek Myqorzo jest na ogół dobrze tolerowany. Istnieją pewne wątpliwości co do długoterminowego wpływu leku Myqorzo na serce i potrzebne są dalsze dane w celu potwierdzenia bezpieczeństwa jego długoterminowego stosowania.

Istnieją ograniczone dane na temat tego, czy lek Myqorzo może być szkodliwy dla nienarodzonego dziecka lub przenikać do mleka matki i w ten sposób wpływać na dziecko, ale na podstawie mechanizmu działania leku nie można wykluczyć występowania szkodliwego działania. W związku z tym w drukach informacyjnych zawarto ostrzeżenie i wskazówki.

Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Myqorzo przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Myqorzo

Firma, która wprowadza lek Myqorzo do obrotu, dostarczy pakiet informacji dla lekarzy i kartę dla pacjenta. Pakiet zawiera informacje na temat ryzyka związanego ze szkodliwym działaniem dla nienarodzonego dziecka i konieczności stosowania skutecznych metod antykoncepcji podczas terapii. Nacisk zostanie również postawiony na ryzyko niewydolności serca (stanu, w którym serce nie pompuje krwi tak dobrze, jak powinno) oraz konieczność wykonywania regularnych badań serca i natychmiastowego zwrócenia się o pomoc lekarską w przypadku wystąpienia takich objawów jak duszność, ból w klatce piersiowej, zmęczenie, obrzęk nóg lub poważne zakażenie. Pacjentom zaleca się również, by informowali lekarza przepisującego ten lek przed rozpoczęciem, przerwaniem lub zmianą stosowania jakiegokolwiek innego leku.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Myqorzo w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Myqorzo są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Myqorzo są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Myqorzo

Dalsze informacje dotyczące leku Myqorzo znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/myqorzo.