



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Myqorzo (*aficamten*)

Prehľad o lieku Myqorzo a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Myqorzo a na čo sa používa?

Myqorzo je liek, ktorý sa používa na liečbu dospelých s obštrukčnou hypertrofickou kardiomyopatiou (oHCM), čo je ochorenie, pri ktorom sval v hlavnej pumpovacej komore srdca zhrubne alebo sa zväčší, čo môže zablokovať prietok krvi zo srdca do zvyšku tela. To môže spôsobiť dýchavičnosť, bolesť v hrudníku, pocit na omdlenie a palpitácie.

Používa sa u dospelých, ktorí majú príznaky tohto ochorenia (trieda II alebo trieda III oHCM). Trieda odráža závažnosť ochorenia: trieda II zahŕňa mierne obmedzenie fyzickej aktivity a trieda III zahŕňa výrazné obmedzenie fyzickej aktivity.

Liek Myqorzo obsahuje liečivo aficamten.

Ako sa liek Myqorzo používa?

Výdaj lieku Myqorzo je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou kardiomyopatie.

Liek je dostupný vo forme tabliet, ktoré sa užívajú ústami jedenkrát denne. Lekár pred začatím liečby vyšetrí pacienta prostredníctvom echokardiogramu, aby posúdil fungovania srdca. Ide o diagnostické vyšetrenie, pri ktorom sa pomocou ultrazvuku získa obraz srdca. Na začiatku liečby sa dávka upraví na základe výsledkov vyšetrenia prostredníctvom echokardiogramu. Vyšetrenie sa vykonáva každé dva až osem týždňov, kým sa nenájde najvhodnejšia dávka. Len čo pacienti začnú užívať stabilnú dávku lieku Myqorzo, vyšetrenia prostredníctvom echokardiogramu sa majú vykonávať raz za 3 až 6 mesiacov.

Viac informácií o užívaní lieku Myqorzo si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Myqorzo účinkuje?

U osôb s obštrukčnou hypertrofickou kardiomyopatiou sa srdcový sval sťahuje veľkou silou a abnormálne zhrubne. Môže to zúžiť priestor, ktorým krv prúdi zo srdca, a obmedziť prietok krvi.

Liečivo lieku Myqorzo, aficamten, čiastočne blokuje srdcový myozín, proteín, ktorý spôsobuje kontrakciu srdca. Obmedzením nadmernej kontrakcie liek umožňuje srdcu sa viac uvoľniť, čím sa



zlepšuje prietok krvi zo srdca. Vďaka tomu dokáže srdce účinnejšie pumpovať krv a môžu sa tak zmierniť príznaky obštrukčnej hypertrofickej kardiomyopatie.

Aké prínosy lieku Myqorzo boli preukázané v štúdiách?

V hlavnej štúdii sa preukázalo, že u pacientov s oHCM triedy II alebo III liek Myqorzo zlepšuje schopnosť vykonávať fyzickú aktivitu i kvalitu života a znižuje pravdepodobnosť, že budú potrebovať veľký srdcový zákrok, ktorý sa nazýva septálna redukčná liečba. Týmto postupom sa znižuje veľkosť zhrubnutého srdcového svalu, a to pomocou chirurgického zákroku alebo použitím katétra (tenkej trubičky zavedenej cez tepnu do srdca).

Na hlavnej štúdii sa zúčastnilo 282 dospelých, ktorí užívali buď liek Myqorzo, alebo sa im podávalo placebo (zdanlivý liek). Schopnosť účastníkov vykonávať fyzickú aktivitu sa merala pomocou hodnoty pVO₂max (maximálneho príjmu kyslíka počas vykonávania fyzickej aktivity). Tento ukazovateľ pomáha pochopiť, do akej miery dokáže srdce pumpovať krv a dodávať tak kyslík do iných častí tela, pričom čím vyššia je hodnota pVO₂max, tým lepšie sú fyzické schopnosti pacienta. Po 24 týždňoch liečby sa u osôb užívajúcich liek Myqorzo zaznamenalo priemerné zvýšenie maximálneho príjmu kyslíka o 1,76 mililitra kyslíka na kilogram telesnej hmotnosti za minútu, kým u osôb, ktorým sa podávalo placebo, sa zvýšil o 0,02 mililitra.

Po 24 týždňoch liečby sa usúdilo, že septálna redukčná liečba je potrebná u menšieho počtu pacientov liečených liekom Myqorzo: približne u 13 % (4 z 32) pacientov užívajúcich liek Myqorzo v porovnaní so 48 % (14 z 29) pacientov, ktorým sa podávalo placebo.

Kvalita života sa merala pomocou dotazníka KCCQ-CCS, v ktorom sa hodnotí, ako srdcové ochorenie ovplyvňuje príznaky a každodenné fyzické aktivity osoby, pričom vyššie skóre znamená menej príznakov a lepšiu fyzickú funkciu. Približne 49 % pacientov liečených liekom Myqorzo po 24 týždňoch liečby hlásilo zvýšenie najmenej o 10 bodov v porovnaní s 27 % pacientov, ktorým sa podávalo placebo. Zvýšenie o 10 bodov sa považuje za významné zlepšenie príznakov a každodenných činností. Celkové skóre kvality života sa pri užívaní lieku Myqorzo zlepšilo v priemere o 11,6 bodu v porovnaní so 4,3 bodu pri podávaní placebo.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Myqorzo?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Myqorzo a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Myqorzo (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú závraty, systolická dysfunkcia (ochorenie, pri ktorom srdce nedokáže pumpovať krv s dostatočnou silou), palpitácie (silný srdcový tep, ktorý môže byť rýchly alebo nepravidelný) a vysoký krvný tlak.

Liek Myqorzo nesmú používať osoby, ktoré užívajú určité lieky ovplyvňujúce spôsob rozkladu lieku Myqorzo v tele, ako je adagrasib (liek používaný na liečbu určitých druhov rakoviny), viac ako jedna dávka flukonazolu (lieku používaného na liečbu mykotických infekcií), rifampicín (antibiotikum používané na liečbu infekcií, ako je tuberkulóza) a ľubovník bodkovaný (rastlinný doplnok používaný na depresiu).

Prečo bol liek Myqorzo povolený v EÚ?

V štúdii sa preukázalo, že liek Myqorzo pomáha pacientom s obštrukčnou hypertrofickou kardiomyopatiou triedy II alebo III a zlepšuje kvalitu ich života. Liečba liekom Myqorzo takisto znížila pravdepodobnosť, že pacienti budú potrebovať septálnu redukčnú liečbu, čo je veľký srdcový zákrok, ktorý so sebou prináša významné riziká. Panuje určitá neistota v súvislosti s tým, ako liek Myqorzo

pôsobí po 24 týždňoch liečby, a spoločnosť poskytne ďalšie údaje na potvrdenie jeho dlhodobých prínosov.

Liek Myqorzo je vo všeobecnosti dobre tolerovaný. Panuje určitá neistota, pokiaľ ide o dlhodobé účinky lieku Myqorzo na srdce, a na potvrdenie jeho dlhodobej bezpečnosti sú potrebné ďalšie údaje.

K dispozícii sú obmedzené údaje o tom, či liek Myqorzo môže spôsobiť poškodenie nenarodeného dieťaťa alebo či môže prechádzať materským mliekom a poškodiť dieťa, avšak vzhľadom na to, ako liek pôsobí, sú škodlivé účinky možné. V informáciách o lieku je preto uvedené príslušné upozornenie a pokyny.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Myqorzo sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Myqorzo?

Spoločnosť, ktorá liek Myqorzo uvádza na trh, poskytne lekárom informačný balíček a pacientom kartu pacienta. Tento informačný balíček obsahuje informácie o riziku poškodenia nenarodeného dieťaťa a potrebe používať počas liečby účinnú antikoncepčnú metódu. Upozorňuje tiež na riziko zlyhania srdca (stavu, keď srdce nepumpuje krv tak, ako by malo), potrebu pravidelných kontrol srdca a dôležitosť okamžitého vyhľadania lekárskej pomoci, ak sa objavia príznaky, ako sú dýchavičnosť, bolesť v hrudníku, únava, opuch nôh alebo závažná infekcia. Pacientom sa tiež odporúča, aby pred tým, ako začnú užívať, ukončia alebo zmenia užívanie akéhokoľvek iného lieku, informovali predpisujúceho lekára.

Na bezpečné a účinné užívanie lieku Myqorzo boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o užívaní lieku Myqorzo sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Myqorzo sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Myqorzo

Ďalšie informácie o lieku Myqorzo sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/myqorzo.