



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Myqorzo (*afikamten*)

Sammanfattning av Myqorzo och varför det är godkänt inom EU

Vad är Myqorzo och vad används det för?

Myqorzo är ett läkemedel som används för att behandla vuxna med hypertrofisk obstruktiv kardiomyopati (HOCM), en sjukdom där muskeln i hjärtats huvudsakliga blodpumpande kammare förtjockas eller förstoras, vilket kan blockera blodflödet från hjärtat till resten av kroppen. Detta kan orsaka andfåddhet, smärta i bröstet, svimningskänsla och hjärtklappning.

Läkemedlet ges till vuxna som har symtom på sjukdomen (HOCM i klass II eller klass III). Klassen återspeglar sjukdomens allvarlighetsgrad: klass II innebär en mindre begränsning av fysisk aktivitet och klass III innebär en markant begränsning av fysisk aktivitet.

Myqorzo innehåller den aktiva substansen afikamten.

Hur används Myqorzo?

Myqorzo är receptbelagt och behandlingen ska påbörjas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla kardiomyopati.

Läkemedlet finns som tabletter som ska tas genom munnen en gång om dagen. Innan behandlingen inleds kommer läkaren att genomföra en ekokardiogramsundersökning för att bedöma patientens hjärtfunktion. Detta är en diagnostisk undersökning där man får fram en bild av hjärtat med hjälp av ultraljud. I början av behandlingen kommer dosen att justeras baserat på resultaten av ekokardiogramsundersökningarna som genomförs varannan till var åttonde vecka, till dess att den lämpligaste dosen fastställs. När patienterna står på en stabil dos Myqorzo kommer dessa ekokardiogramsundersökningar att genomföras var tredje till var sjätte månad.

För mer information om hur du använder Myqorzo, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Myqorzo?

Hos personer med hypertrofisk obstruktiv kardiomyopati drar hjärtmuskeln ihop sig kraftigt och blir onormalt tjock. Detta kan minska utrymmet genom vilket blodet lämnar hjärtat och minska blodflödet.

Den aktiva substansen i Myqorzo, afikamten, blockerar till viss del hjärtmyosin, ett protein som orsakar hjärtats sammandragning. Läkemedlet begränsar överdriven sammandragning och gör så att

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



hjärtat kan slappna av mer och förbättrar blodflödet ut ur hjärtat. Detta hjälper hjärtat att pumpa blodet effektivare och kan lindra symtomen på hypertrofisk obstruktiv kardiomyopati.

Vilka fördelar med Myqorzo har visats i studierna?

En huvudstudie visade att Myqorzo förbättrar motionsförmågan och livskvaliteten hos patienter med HOCM i klass II eller III och minskar sannolikheten för att de ska behöva genomgå septal reduktionsbehandling, som är ett större ingrepp i hjärtat. Detta ingrepp leder till att den förtjockade hjärtmuskeln minskar i storlek genom kirurgi eller med hjälp av en kateter (ett tunt rör som förs in genom en artär till hjärtat).

I huvudstudien ingick 282 vuxna som antingen tog Myqorzo eller placebo (overksam behandling). Deltagarnas motionsförmåga mättes med hjälp av pVO₂max (den maximala mängd syre som används vid fysisk aktivitet). Detta gör det lättare att förstå hur väl hjärtat kan pumpa blod för att leverera syre till andra delar av kroppen, där högre pVO₂max innebär bättre fysisk förmåga. Efter 24 veckors behandling hade de patienter som tog Myqorzo en genomsnittlig ökning av pVO₂max på 1,76 milliliter syre per kg kroppsvikt per minut, jämfört med 0,02 hos de patienter som fick placebo.

Efter 24 veckors behandling ansågs färre patienter som behandlades med Myqorzo vara i behov av septal reduktionsbehandling: omkring 13 procent (4 av 32) av de patienter som tog Myqorzo ansågs vara i behov av sådan behandling, jämfört med 48 procent (14 av 29) av de patienter som tog placebo.

Livskvaliteten mättes med hjälp av KCCQ-CCS-frågeformuläret, genom vilket man kan bedöma hur hjärtsjukdom påverkar en persons symtom och dagliga fysiska aktivitet, där högre poäng innebär färre symtom och bättre fysisk förmåga. Efter 24 veckors behandling rapporterade omkring 49 procent av de patienter som behandlades med Myqorzo en ökning med minst 10 poäng, jämfört med 27 procent av de patienter som fick placebo. En ökning med 10 poäng betraktas som en meningsfull förbättring av symtomen och de dagliga aktiviteterna. Totalt sett förbättrades livskvalitetspoängen med i genomsnitt 11,6 poäng med Myqorzo, jämfört med 4,3 poäng med placebo.

Vilka är riskerna med Myqorzo?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Myqorzo finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Myqorzo (kan förekomma hos upp till 1 av 10 användare) är yrsel, systolisk dysfunktion (ett tillstånd där hjärtat inte kan pumpa med tillräcklig kraft), hjärtklappning (kraftiga hjärtslag som kan vara snabba eller oregelbundna) och högt blodtryck.

Myqorzo får inte ges till personer som tar vissa läkemedel som påverkar hur Myqorzo bryts ned i kroppen, såsom adagrasib (ett läkemedel som används för att behandla vissa cancersjukdomar), mer än en enkeldos av flukonazol (ett läkemedel som används för att behandla svampinfektioner), rifampicin (ett antibiotikum som används för att behandla infektioner såsom tuberkulos) och johannesört (ett växtbaserat antidepressivt läkemedel).

Varför är Myqorzo godkänt i EU?

En studie visade att Myqorzo förbättrar motionsförmågan och livskvaliteten hos patienter med hypertrofisk obstruktiv kardiomyopati i klass II eller III. Behandling med Myqorzo minskade också sannolikheten för att patienterna skulle behöva septal reduktionsbehandling, ett större ingrepp i hjärtat som medför betydande risker. Det råder viss osäkerhet om hur väl Myqorzo verkar vid behandling i mer än 24 veckor, och företaget kommer att lämna ytterligare uppgifter för att bekräfta läkemedlets långsiktiga fördelar.

Myqorzo tolereras i allmänhet väl. Det råder viss osäkerhet om Myqorzos långsiktiga effekter på hjärtat, och ytterligare uppgifter behövs för att bekräfta dess långsiktiga säkerhet.

Det finns begränsade uppgifter om huruvida Myqorzo kan orsaka fosterskador eller ha en inverkan på ett barn via bröstmjolk, men baserat på hur läkemedlet verkar är skadliga effekter möjliga. Produktinformationen inbegriper därför en varning och vägledning.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Myqorzo är större än riskerna och att Myqorzo kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Myqorzo?

Företaget som marknadsför Myqorzo kommer att tillhandahålla ett informationspaket för läkare och ett patientkort för patienter. Detta informationspaket innehåller information om risken för fosterskador och om behovet av att använda en effektiv preventivmetod under behandlingen. I informationspaketet betonas även risken för hjärtsvikt (när hjärtat inte klarar av att pumpa runt tillräckligt med blod i kroppen), behovet av regelbundna hjärtkontroller och vikten av att omedelbart söka läkarvård om symtom såsom andfåddhet, smärta i bröstet, trötthet, svullna ben eller en allvarlig infektion uppstår. Patienterna rekommenderas också att informera sin förskrivande läkare innan de påbörjar, avslutar eller ändrar behandling med något annat läkemedel.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Myqorzo har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Myqorzo kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Myqorzo utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Myqorzo

Mer information om Myqorzo finns på EMA:s webbplats:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/myqorzo.