

Hipertrofik Kardiyomyopati, sarkomerik genlerin patojenik varyantlarından kaynaklanan, açıklanamayan sol ventrikül hipertrofisi ile karakterize primer miyokardiyal bir hastalıktır. Obstrüktif hipertrofik kardiyomyopatili hastalarda tedavinin asıl amacı semptomatik iyileşmedir. Fakat mevcut tedavi seçenekleri bu hastalık için spesifik ve yeterli değildir. Mavacamten kontraktiletiyi azaltan, direkt miyozin inhibitörü bir ajandır..

Semptomatik obstrüktif hipertrofik kardiyomyopati tedavisi tedavisinde Mavacamten (EXPLORER-HCM)

Dr. Oğuzhan Birdal

Çalışmayı yorumlayan: Dr. Oğuzhan Birdal

Çalışmanın adı: Semptomatik obstrüktif hipertrofik kardiyomyopati tedavisi tedavisinde Mavacamten (EXPLORER-HCM)

Hangi kongrede yayınlandığı: ACC 2021

Fulltext linki: [https://www.thelancet.com/article/S0140-6736\(20\)31792-X/fulltext](https://www.thelancet.com/article/S0140-6736(20)31792-X/fulltext)

Giriş :

Hipertrofik Kardiyomyopati, sarkomerik genlerin patojenik varyantlarından kaynaklanan, açıklanamayan sol ventrikül hipertrofisi ile karakterize primer miyokardiyal bir hastalıktır. Obstrüktif hipertrofik kardiyomyopatili hastalarda tedavinin asıl amacı semptomatik iyileşmedir. Fakat mevcut tedavi seçenekleri bu hastalık için spesifik ve yeterli değildir. Mavacamten kontraktiletiyi azaltan, direkt miyozin inhibitörü bir ajandır.

Amaç :

Bu çalışmada mavacamtenin obstrüktif hipertrofik kardiyomyopatili hastaların sağlık durumlarının üzerine (semptomlar, hayat kalitesi gibi) etkisi incelenmiştir.

Metod :

Çalışma çok merkezli, randomize, çift kör, plasebo kontrollü bir çalışma olarak dizayn edildi. Sol ventrikül çıkış yolu gradientinin >50 mmHg'nın üstünde olduğu ve New York Kalp Cemiyetine göre fonksiyonel kapasitesi sınıf 2-3 olan 18 yaşın üzerindeki hastalar çalışmaya dahil edildi. 30 haftalık süre boyunca hastalar mavacamten ve plasebo kollarına (1:1) randomize edildi. Bu sürenin ardından 8 hafta hiçbir medikasyon verilmeyerek sonuçlar incelendi. Kansas City Kardiyomyopati Anketi (KCCA) başlangıçta, 6, 12, 18, 30 (tedavinin sonu) ve 38'inci (çalışmanın sonu) haftalarda kullanılarak hastaların sağlık durumlarındaki değişiklikler incelendi.

Bulgular :

Mavacamten kolundaki 123 hastanın 92'sine (%75), plasebo kolundaki 128 hastanın 88'ine (%69) KCCA anketi başlangıçta ve 30. Haftada uygulandı . 30 haftada, KCCA ortalama skorundaki değişiklik mavacamten kolunda plaseboya göre anlamlı düzeyde yüksekti ($p<0,0001$). Skoramada başlangıca göre büyük değişiklik (KCCA ortalama skoru \geq 20 puan) olan hastaların oranı mavacamten grubunda %36 (92'nin 33'ü) iken plasebo grubunda %15 (88'in 13'ü) idi.

Sonuç :

Mavacamten obstrüktif hipertrofik kardiyomyopatili hastaların klinik durumlarında önemli derecede iyileşmeler sağlamaktadır. Faydaları tedaviye başladıktan sonra erken dönemde gözlenmektedir. Tedavinin kesilmesiyle olumlu etkileri gerilemektedir.

Yorum :

Obstrüktif hipertrofik kardiyomyopatili hastaların tedavisinde primer hedeflerin hastaların semptomlarının azaltılması, fiziksel ve sosyal fonksiyonlarının düzeltilmesi ve yaşam kalitesinin artırılması olduğu göz önüne alındığında, mavacamten bu hedeflere ulaşmak için kullanılabilecek yeni bir tedavi ajanı olabilir.