

Mavacamten in Symptomatic Adolescent Patients With Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy: Results From the Phase 3 Scout-HCM Trial

Dr. Yunus Emre Özbebek

Dr. Yunus Emre Özbebek

Mavacamten in Adolescents with Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy

Çalışmanın amacı

Bu çalışmanın amacı, obstrüktif hipertrofik kardiyomyopatisi olan semptomatik adölesan hastalarda mavacamten tedavisinin etkinlik ve güvenliğini değerlendirmektir. Pediatrik HCM'de mevcut tedaviler çoğunlukla semptomatik olup hastalığın temel mekanizmasını hedeflemediği için, bu çalışma daha spesifik ve hastalığı modifiye edebilecek bir tedavi seçeneğini araştırmayı hedeflemektedir.

Metodoloji

Bu çalışma, SCOUT-HCM adı verilen faz 3, çift kör, randomize ve plasebo kontrollü bir çalışmadır. Çalışmaya 12–18 yaş aralığında, NYHA sınıf II–III semptomatik ve belirgin LVOT obstrüksiyonu bulunan toplam 44 hasta dahil edilmiştir. Hastalar 1:1 oranında mavacamten veya plasebo grubuna randomize edilmiş ve 28 hafta boyunca takip edilmiştir. Primer sonlanım noktası, başlangıca göre 28. haftada Valsalva manevrası ile ölçülen sol ventrikül çıkış yolu gradientindeki değişim olarak belirlenmiştir.

Temel bulgular

Mavacamten tedavisi, LVOT gradientinde yaklaşık 48 mmHg'lık anlamlı bir azalma sağlamış, plasebo grubunda ise belirgin bir değişiklik gözlenmemiştir ($p < 0.001$). Bunun yanında dinlenim ve egzersiz gradientlerinde azalma, sol ventrikül duvar kalınlığında gerileme ve diyastolik fonksiyonda iyileşme gibi sekonder sonlanımlar da mavacamten lehine bulunmuştur. Ayrıca NT-proBNP ve troponin düzeylerinde azalma saptanmış, bu durum kardiyak stres ve miyokard hasarında azalma ile ilişkilendirilmiştir. Fonksiyonel olarak mavacamten grubunda egzersiz kapasitesinde artış ve NYHA sınıfında iyileşme daha sık görülmüştür.

Klinik pratiğe katkısı

Bu çalışma, mavacamtenin adölesan obstrüktif HCM hastalarında LVOT obstrüksiyonunu anlamlı şekilde azaltan ve güvenli görünen ilk hedefe yönelik tedavilerden biri olduğunu göstermektedir. Özellikle cerrahi tedavi ihtiyacını azaltma potansiyeli ve hastalığın temel patofizyolojisini hedeflemesi açısından klinik pratiğe önemli katkı sağlamaktadır.

Kaynak

- Rossano JW et al. Mavacamten in Adolescents with Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. N Engl J Med. 2026.