

Start- og stopkriterier for mavacamten til obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati

Start- og stopkriterier

SRT er den primære behandlingsmulighed til patientgruppen. Patienter, der vurderes ikke at være egnede til septal reduktions terapi grundet anatomiske forhold, tekniske forhold eller betydende komorbiditeter kan opstarte behandling med mavacamten efter drøftelse på multidisciplinær teamkonference (MDT).

Herudover skal følgende opstartskriterier alle være opfyldt:

- Verificeret diagnose med obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati.
- Der foreligger en venstre ventrikel udløbsostruktion (LVOT-gradient) ≥ 50 mmHg i hvile eller ved provokation, svarende til de patientpopulationer, der er undersøgt i de kliniske studier af mavacamten.
- LVEF ≥ 55 % før behandlingsstart.
- Patienten har vedvarende betydende symptomer svarende til mindst NYHA klasse III trods optimeret standardbehandling med betablokker og/eller calciumkanalblokkere, medmindre disse er kontraindicerede eller ikke tolereres.
- Opstart, dosisjustering og opfølgning skal foregå på et højt specialiseret center med særlig ekspertise i hypertrofisk kardiomyopati, herunder mulighed for regelmæssig ekkokardiografisk monitorering af venstre ventrikels systoliske funktion og LVOT-gradient.

Behandling med mavacamten bør seponeres ved:

- Manglende behandlingsrespons efter 3-6 måneders behandling og relevant dosisoptimering, defineret som manglende forbedring af symptomer i form af ingen forbedring i NYHA-klasse og fortsat betydende LVOT-obstruktion med LVOT-gradient ≥ 50 mmHg.
- Ved behov for septal reduktionsbehandling (SRT) efter MDT-vurdering.
- Fald i venstre ventrikels uddrivningsfraktion (LVEF) til under 50 % eller anden sikkerhedsmæssig bekymring, som vurderes relateret til behandlingen og som ikke kan håndteres ved pausering eller dosisjustering.
- Uacceptable bivirkninger eller manglende mulighed for den nødvendige ekkokardiografiske monitorering.