



Farmaci, risultati positivi per mavacamten in adolescenti con cardiomiopatia ipertrofica

Descrizione

(Adnkronos) Sono positivi i dati dello studio di fase 3 Scout-Hcm su mavacamten, il primo su un inibitore della miosina cardiaca (Cmi) negli adolescenti (di et  compresa tra 12 e 18 anni) con cardiomiopatia ipertrofica ostruttiva (oHcm) sintomatica. Lo studio informa Bristol Myers Squibb in una nota ha soddisfatto l'endpoint primario, dimostrando una riduzione clinicamente rilevante e statisticamente significativa, alla settimana 28 rispetto al basale, del gradiente del tratto di efflusso ventricolare sinistro (Lvot) con manovra di Valsalva con mavacamten rispetto a placebo, con una differenza media dei minimi quadrati (Ls) significativa (Ci 95%) alla settimana 28 di -48,0 (-67,7, -28,3) mm Hg (P < 0,0001). Inoltre, mavacamten ha dimostrato un miglioramento significativo rispetto a placebo in diversi endpoint secondari a 28 settimane, e simili risultati di sicurezza sono stati osservati nei gruppi trattati con mavacamten e placebo. I dati sono stati condivisi con una presentazione late-breaking all'Annual Scientific Session & Expo 2026 dell'American College of Cardiology (Acc), con pubblicazione simultanea sul 'New England Journal of Medicine' .

La cardiomiopatia ipertrofica pediatrica   una rara patologia cardiaca associata a sintomi gravi, a volte potenzialmente letali spiega Joseph Rossano, principal Investigator dello studio Scout-Hcm e direttore della Divisione di Cardiologia del Children's Hospital di Philadelphia. In assenza di terapie approvate per i pazienti pediatrici con cardiomiopatia ipertrofica ostruttiva e con le attuali raccomandazioni per la terapia farmacologica derivate principalmente da studi condotti su adulti, i risultati positivi di questo studio rappresentano un significativo progresso nel campo della cardiologia pediatrica e una potenziale nuova terapia efficace per i pazienti adolescenti, qualora venisse approvata dalla Fda, l'Agenzia americana del farmaco.

Lo studio Scout-Hcm dettaglia la nota ha valutato mavacamten rispetto a placebo in 44 pazienti di et  compresa tra 12 e 18 anni con oHcm e sintomi di classe II-III secondo New York Heart Association (Nyha) per un periodo di 28 settimane. Oltre a raggiungere l'endpoint primario di riduzione del gradiente del tratto di efflusso ventricolare sinistro con manovra di Valsalva, mavacamten ha mostrato miglioramenti significativi rispetto a placebo in termini di ostruzione ventricolare sinistra, funzione diastolica, spessore massimo della parete ventricolare sinistra, classe Nyha e disfunzione della valvola mitrale a 28 settimane.

“I risultati dello studio Scout-Hcm” commenta Cristian Massacesi, Executive Vice President, Chief Medical Officer and Head of Development, di Bristol Myers Squibb “sottolineano il potenziale di mavacamten di diventare il primo inibitore della miosina cardiaca (Cmi) per gli adolescenti, rafforzando la nostra leadership in questo settore e il nostro ruolo nel ridefinire la comprensione scientifica della oHcm e le modalità con cui la malattia viene diagnosticata, valutata e potenzialmente trattata. Alla luce di questi dati significativi di sicurezza ed efficacia, siamo entusiasti del potenziale di poter fornire un cambiamento di paradigma terapeutico per i pazienti adolescenti e le loro famiglie”.

Nello studio “prosegue la nota” i miglioramenti nei gradienti del tratto di efflusso ventricolare sinistro (Lvot) a riposo e dopo esercizio con mavacamten rispetto a placebo hanno mostrato una differenza media dei minimi quadrati di -47,0 mm Hg (-62,7, -31,4) con p nominale < 0,0001 e -41,7 mm Hg (-59,7, -23,7) con p nominale < 0,0001, rispettivamente. L'endpoint primario “è stato supportato dalla percentuale di pazienti che hanno ottenuto una riduzione del gradiente massimo del Lvot (a riposo o con manovra di Valsalva) a <30 mm Hg, dal basale a 28 settimane. Inoltre sono stati osservati cambiamenti strutturali positivi con mavacamten rispetto a placebo, come dimostrato dal miglioramento della differenza media dello spessore massimo della parete del ventricolo sinistro (Ci 95%) di -1,8 (-3,4, -0,2) mm (p nominale = 0,0269) e del rapporto medio E/e' (rapporto tra la velocità di afflusso mitralico precoce e la velocità diastolica precoce dell'anello mitralico) di differenza media (Ci 95%) di -3,4 (-5,1, -1,6) con p nominale = 0,0002.

Risultati di sicurezza simili sono stati osservati nei gruppi trattati con mavacamten e placebo, inclusi eventi avversi emergenti dal trattamento (Teaes) (18 vs 17 partecipanti che ne hanno manifestato almeno uno, rispettivamente), Teaes correlati al trattamento (2 vs 3, rispettivamente), eventi avversi gravi emergenti dal trattamento (Tesaes) (2 in entrambi i gruppi) e Tesaes correlati al trattamento (1 vs 0, rispettivamente). Durante il periodo di studio non si sono verificate interruzioni del trattamento o decessi correlati ai Teae, nessun caso di fibrillazione atriale o insufficienza cardiaca sintomatica e nessun paziente ha manifestato una frazione di eiezione ventricolare sinistra (Lvef) <50%. Nel complesso, questi risultati dimostrano che il profilo di sicurezza del trattamento con mavacamten negli adolescenti con oHcm “è risultato simile a quello riportato negli adulti, senza l'identificazione di nuovi segnali di sicurezza. Il periodo di trattamento attivo di 28 settimane dello studio Scout-Hcm” conclude la nota “è tuttora in corso e Bristol Myers Squibb collaborerà con i principali ricercatori per presentare i dati relativi alle 56 settimane in occasione di un prossimo congresso medico.

“

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Aprile 10, 2026

Autore

redazione

default watermark