


# Eficacia y seguridad del tratamiento con mavacamten en pacientes con miocardiopatía hipertrófica obstructiva: experiencia en un hospital de tercer nivel y comparativa con estudio EXPLORER HCM

Ángela Gabaldón Mestre(1), Marta Martín Vélez(2), Helena Llamas Gómez(3), Cecilia Prados Murcia(3), Inmaculada Paneque Sánchez-Toscano(3), Eva Alfaro Lara(4), Carlos Palacios Castelló(3), Carlos del Toro Esperón(2), Ernesto Ruiz Pereira(2), Lidia Rodero Barcos(2), Miguel Barranco Gutiérrez(2), Mª Esperanza Donoso Muñoz(2), Javier Azcona Sousa(2), Juan Manuel Aragón González(2) y María Luisa Peña Peña(3) de (1)Cardiología y Cirugía Cardiovascular, (2)Servicio de Cardiología y Cirugía Cardiovascula, (3)Servicio de Cardiología y Cirugía Cardiovascular. Unidad de Cardiopatías Familiares y (4)Servicio de Farmacia Hospitalaria. Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla - España

Introducción: Mavacamten, primer inhibidor de la miosina cardíaca, es una opción terapéutica prometedora en miocardiopatía hipertrófica obstructiva (MCHO), aunque su eficacia y seguridad en práctica clínica real son aún poco conocidas.
El objetivo fue evaluar la mejoría clínica, bioquímica y ecocardiográfica en pacientes con MCHO tratados con mavacamten en una unidad de cardiopatías familiares de un hospital de tercer nivel y comparar los resultados con los del ensayo EXPLORER-HCM.

Métodos: Estudio observacional retrospectivo unicéntrico en el que se incluyeron 17 pacientes. Se recogieron variables sociodemográficas, clínicas, genéticas, ecocardiográficas y biomarcadores al inicio y a los 6 meses de tratamiento.

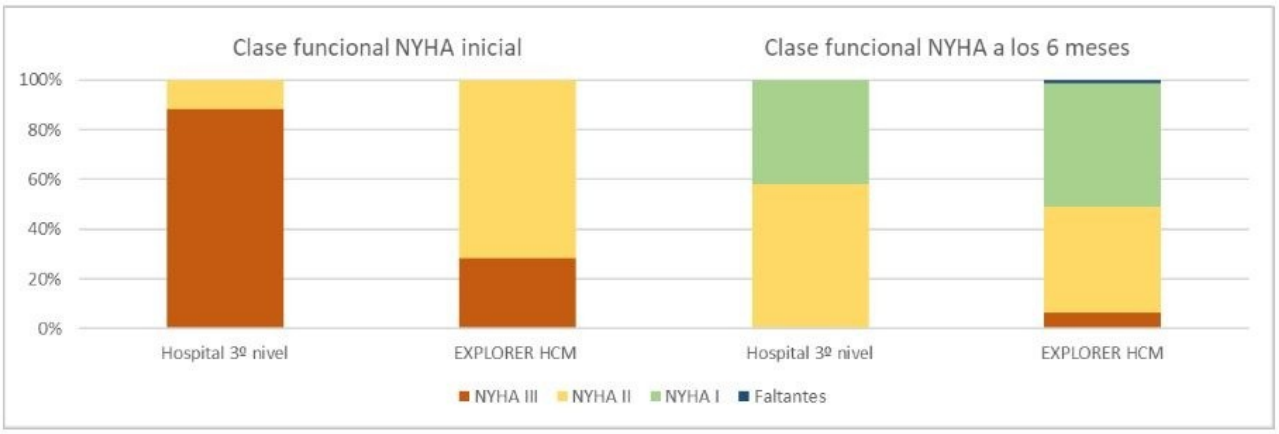
Resultados: Las características sociodemográficas y clínicas se recogen en la Tabla 1.

Respecto al tratamiento basal, el 41% de los pacientes recibían betabloqueantes, 58,8% antagonistas del calcio y 53% disopiramida (el resto no la toleró, prolongó intervalo QT o no hubo mejoría). No hubo reducciones septales. Al inicio, el 88,2% se encontraba en clase funcional (CF) III y 11,7% en II, con FEVI media 66% y grosor septal 19,3mm. La mediana del gradiente en reposo fue 55mmHg [RIC 35–86.5] y 103mmHg [RIC 84.5–120] con Valsalva. Mediana NT-proBNP 470 pg/mL [RIC 271–1804].

De los 17 pacientes incluidos, 13 (76,5%) completaron 6 meses de seguimiento. Tras 6 meses de tratamiento, el 41,7% se encontraban en CF I y 58,3% en II; con mejoría de dos CF en el 41,7% y una en el 50%; un solo paciente no mejoró. La mediana de los METS basales en la prueba de esfuerzo fue de 7 (4.8–8.6), al igual que a los 6 meses de 7 (5.1–8.6). Se objetivó una reducción de la mediana del gradiente en reposo a 8,5 mmHg [RIC 6–14.5] (p=0,005) y con Valsalva a 16 mmHg [RIC 10–23] (p=0,008) de forma significativa. La mediana de NT-proBNP

descendió significativamente a 192 pg/mL [RIC 57–301] (p=0,008). Se registró un caso de disfunción ventricular que motivó la suspensión del tratamiento, sin eventos clínicos graves.

Conclusiones: En comparación con la cohorte de EXPLORER-HCM, nuestros pacientes presentaban un fenotipo más severo y la mitad incluían tratamiento con disopiramida. A pesar de ello, mavacamten mostró alta eficacia en práctica real, con resultados a los 6 meses incluso más favorables que EXPLORER-HCM. La ergometría no fue una prueba válida para medir la mejora en la capacidad funcional.



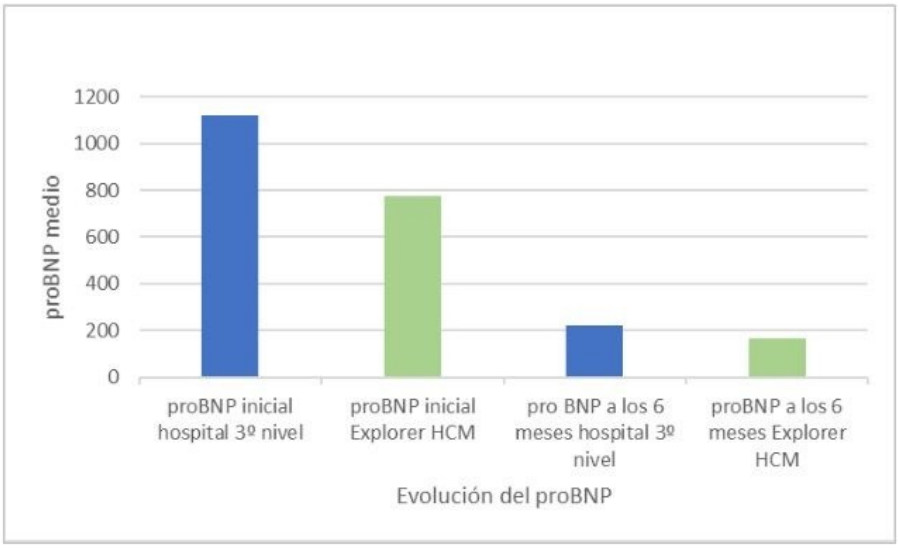



**Tabla 1. Análisis descriptivo de nuestra cohorte y comparación con estudio EXPLORER-HCM**

| | **EXPLORER-HCM** (n=123) | **Hospital 3º nivel** (n=17) | | **EXPLORER-HCM** (n=123) | **Hospital 3º nivel** (n=17) |
|---|---|---|---|---|---|
| Edad (años) | 58 (12,2) | 60 (10) | Tratamiento farmacológico | | |
| Sexo | | | *Betabloqueantes* | 94 (76%) | 7 (41%) |
| *Hombres* | 66 (54%) | 10 (58,8%) | *Antagonistas del calcio* | 25 (20%) | 10 (58,8%) |
| *Mujeres* | 67 (46%) | 7 (41,2 %) | *Disopiramida* | 0 | 9 (53,3%) |
| Raza caucásica | 115 (93%) | 17 (100%) | Desfibrilador automático implantable | 27 (22%) | 1 (5,9%) |
| Estudio genético | 90 (73%) | 16 (94%) | Clase funcional NYHA II | 88 (72%) | 2 (11,8%) |
| *Variante P o PP* | 28/90 (31%) | 7/16 (43%) | Clase funcional NYHA III | 35 (28%) | 15 (88,2%) |
| Historia familiar | 33 (27%) | 6 (37,5%) | NT proBNP (ng/L) (CV%) | 777 (136) | 1120 (103,7) |
| Antecedentes personales | | | Troponina us I (ng/L) (CV%) | 12,5 (208) | 15,36 (142) |
| *Fibrilación auricular* | 12 (10%) | 3 (17,6%) | Parámetros ecocardiográficos | | |
| *Reducción septal* | 11 (9%) | 0 | *FEVI (%)* | 74 (6) | 66 (3) |
| *Hipertensión arterial* | 57 (46%) | 8 (47,1%) | *Grosor máximo del VI* | 20 (4) | 19,3 (2,4) |
| *Diabetes mellitus 2* | 6 (5%) | 3 (17,6%) | *OTSVI en reposo (mmHg)* | 52 (29) | 63,2 (37) |
| *Cardiopatía isquémica* | 12 (10%) | 1 (5,9%) | *OTSVI Valsalva (mmHg)* | 72 (32) | 102,4 (18,5) |
| | | | *Diámetro AI (mm)* | 42 (5) | 43,8 (5) |

Datos en media (DE: desviación estándar) o n (%). P= patogénica; PP= posiblemente patogénica; NYHA= New York Heart Association; NT-proBNP= N-terminal pro péptido natriurético; FEVI= Fracción de eyección del ventrículo izquierdo; VI= Ventrículo izquierdo; OTSVI= obstrucción tracto de salida del ventrículo izquierdo; AI= aurícula izquierda.