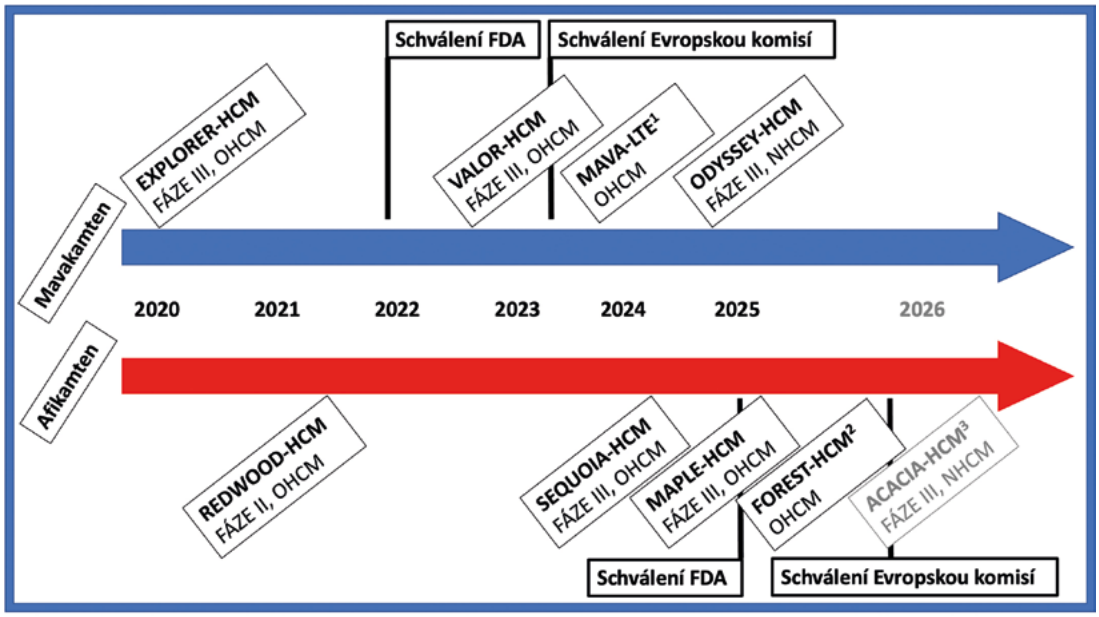
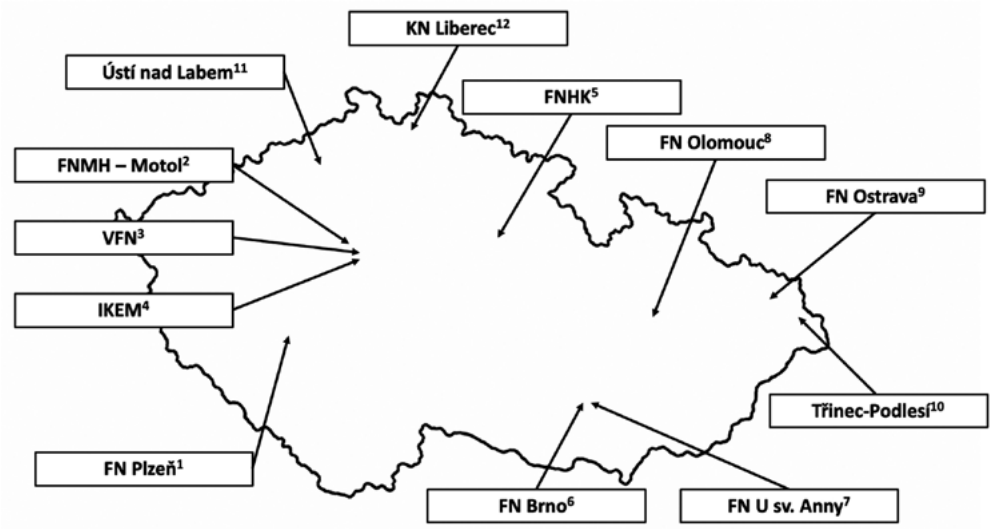
Obr. 1. *FDA – Food And Drug Administration; OHCM – obstruktivní hypertrofická kardiomyopatie; NHCM – neobstruktivní hypertrofická kardiomyopatie; 1. dlouhodobá studie, v roce 2024 publikovány 5leté výsledky; 2. dlouhodobá studie, v roce 2025 publikovány 48týdenní výsledky; 3. probíhající studie, očekávané datum oznámení výsledků rok 2026*



Obr. 2. *1. Fakultní nemocnice Plzeň; 2. Fakultní nemocnice Motol a Homolka – Motol; 3. Všeobecná fakultní nemocnice v Praze; 4. Institut klinické a experimentální medicíny; 5. Fakultní nemocnice Hradec Králové; 6. Fakultní nemocnice Brno; 7. Fakultní nemocnice u svaté Anny; 8. Fakultní nemocnice Olomouc; 9. Fakultní nemocnice Ostrava; 10. Nemocnice AGEL Třinec-Podlesí; 11. Masarykova nemocnice Ústí nad Labem; 12. Krajská nemocnice Liberec*



z programu s afikamtenem, a to Cedar-HCM. V této unikátní studii je v současnosti afikamten testován u pediatrické populace s obstruktivní formou HCM. Na základě zatím dostupných dat byl na konci roku 2025 afikamten schválen k použití americkou FDA a doporučen ke schválení Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP), která je součástí European Medicines Agency (EMA) a 12. 2. 2026 schválen i samotnou Evropskou komisí (11, 12). Grafický přehled klíčových momentů a publikovaných studií s inhibitory myosinu je znázorněn na obrázku 1.

V současnosti testované další molekuly v terapii HCM

V letošním roce byly oznámeny první pozitivní výsledky s novou molekulou (EDG-7500) určenou k terapii HCM. Jedná se o selektivní modulátor sarkomer určený ke zpomalení časné kontrakce a zlepšení diastolické funkce. Ve studii Cirrus-HCM (studie fáze 2) jsou zařazeni jak pacienti s obstruktivní, tak neobstruktivní formou HCM, u kterých bylo dle oznámených výsledků dosaženo zlepšení symptomatologie, zmírnění obstrukce LVOT, zlepšení parametrů diastolické funkce a poklesu biomarkerů. Na rozdíl od inhibitorů myosinu by tato nová molekula neměla vést k poklesu ejekční frakce levé komory. Kompletní výsledky ze studie Cirrus-HCM jsou očekávány v první polovině roku 2026 (13).

Na pacienty s neobstruktivní HCM se zaměřuje i výzkum s ninerafaxstatem, který ovlivňuje energetický metabolismus kardiomyocytů. Lék má za sebou již studii fáze 2 (Improve-HCM), ve které prokázal bezpečnost a v současnosti probíhá studie fáze 2b zaměřená i na účinnost (14).