

V prvotních fázích klinického testování se již nachází také genové terapie HCM. Na sjezdu American College of Cardiology 2025 byly oznámeny předběžné výsledky u prvních 3 pacientů léčených pomocí genové terapie cílené na pacienty s patogenní mutací v genu MYBPC3 v rámci studie fáze 1 (MyPeak-1). V jedné infuzi je pacientům pomocí adenovirového vektoru dopraven intracelulárně funkční gen MYBPC3. U všech pacientů došlo ke zlepšení symptomů a u dvou pacientů ke zmenšení míry hypertrofie levé komory. Ve studii nebyly pozorovány závažné nežádoucí události, nejzávažnějším vedlejším účinkem byla reverzibilní elevace jaterních testů (15).

## Současná situace v České republice

V současnosti je v České republice dostupná terapie mavakamtenem, jehož preskripce je vázána na ustanovenou síť center pro kardiomyopatie, jejichž aktuální seznam je dostupný na stránkách Pracovní skupiny chorob myokardu a perikardu České kardiologické společnosti (<https://www.kardio-cz.cz/sit-center-pro-kardiomyopatie.html>) a graficky znázorněný v obrázku 2. Reálná možnost preskripce mavakamtenu záleží na situaci konkrétního centra a v době psaní článku se liší jak v rámci center, tak mezi zdravotními pojišťovnami.

Rok 2025 znamenal v ČR významný nárůst počtu pacientů léčených mavakamtenem a česká zkušenost s touto terapií tak významně roste. Nasazení, titrace a sledování pacientů je časově a logisticky náročné, a to zejména v prvotních (titračních) fázích nastavování terapie. Pacienti vyžadují echokardiografické sledování v prvních 3 měsících každé 4 týdny a postupnou titrací dávky dle přesně daných kritérií. Všichni pacienti směřovaní k terapii mavakamtenem musí mít vyšetřenou geneticky podmíněnou rychlost metabolizace CYP450 2C19.

## Závěr

Rok 2025 přinesl ve farmakoterapii HCM inkrementální postup, a to zejména na poli inhibitorů myosinu. Za největší novinky lze označit publikované studie Odyssey-HCM a Maple-HCM, které přinesly mírné zklamání na poli neobstruktivní formy HCM, a na druhou stranu pozitivní data s afikamtenem jako další terapií formy obstruktivní. Kromě nových dat s použitím inhibitorů myosinu se do pokročilých fází testování dostávají i nové molekuly s novými mechanismy účinku, které se zaměřují na celé spektrum pacientů s HCM a mají potenciál zlepšit symptomatologii pacientů nejen s obstruktivní, ale i neobstruktivní formou HCM, u kterých jsou v současné době možnosti limitované.

**PROHLÁŠENÍ AUTORŮ: Prohlášení o původnosti:** Publikace byla zpracována s využitím uvedené literatury a nebyla publikována ani zaslána k recenznímu řízení do jiného média. **Střet zájmů:** Jiří Bonaventura – přednášková činnost a člen poradního sboru: Bristol Myers Squibb. **Financování:** Ne. **Poděkování:** N/A. **Registrace v databázích:** N/A. **Projednání etickou komisí:** N/A.

## LITERATURA

- Olivotto I, Oreziak A, Barriales-Villa R, et al. Mavacamten for treatment of symptomatic obstructive hypertrophic cardiomyopathy (EXPLORER-HCM): a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial. *The Lancet*. 2020;396(10253):759-69. Available from: <https://www.thelancet.com/action/showFullText?pii=S014067362031792X>
- Desai MY, Owens A, Wolski K, et al. Mavacamten in Patients With Hypertrophic Cardiomyopathy Referred for Septal Reduction: Week 56 Results From the VALOR-HCM Randomized Clinical Trial. *JAMA Cardiol*. 2023;8(10):968-7. Available from: <https://jamanetwork.com/journals/jamacardiology/fullarticle/2809050>
- Garcia-Pavia P, Oręziak A, Masri A, et al. Long-term effect of mavacamten in obstructive hypertrophic cardiomyopathy. *Eur Heart J*. 2024;45(47):5071-83. Available from: <https://dx.doi.org/10.1093/eurheartj/ehae579>
- Desai MY, Owens AT, Abraham T, et al. Mavacamten in Symptomatic Nonobstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. *New England Journal of Medicine*. 2025;393(10):961-72. Available from: <https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2505927>
- Desai MY, Olivotto I, Abraham T, et al. Effects of Mavacamten on Cardiac Biomarkers in Nonobstructive Hypertrophic Cardiomyopathy: Insights From the ODYSSEY-HCM Trial. *JACC*. 2025;86(24):2418-33.
- Maron MS, Masri A, Nassif ME, et al. Aficamten for Symptomatic Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. *NEJM*. 2024;390(20):1849-61. Available from: <https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2401424>
- Saber S, Abraham TP, Choudhury L, et al. Aficamten Treatment for Symptomatic Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy: 48-Week Results From FOREST-HCM. *JACC Heart Fail*. 2025;13(8). Available from: <https://www.jacc.org/doi/10.1016/j.jchf.2025.03.040>
- Weiner S, Liang L, Masri A, et al. Abstract 4368742: Long-term Impact of Aficamten on Patient-Reported Outcome Measures in Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy: Results From FOREST-HCM. *Circulation*. 2025;152(Suppl\_3). Available from: [https://www.ahajournals.org/doi/10.1161/circ.152.suppl\\_3.4368742](https://www.ahajournals.org/doi/10.1161/circ.152.suppl_3.4368742)
- Maron MS, Gimeno JR, Veselka J, et al. Efficacy of aficamten in patients with obstructive hypertrophic cardiomyopathy and mild symptoms: results from the SEQUOIA-HCM trial. *Eur Heart J*. 2025;46(40):4076-86. Available from: <https://dx.doi.org/10.1093/eurheartj/ehaf364>
- Garcia-Pavia P, Maron MS, Masri A, et al. Aficamten or Metoprolol Monotherapy for Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. *NEJM*. 2025;393(10):949-60. Available from: <https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2504654>
- Cytokinetics, Incorporated – Cytokinetics Announces Positive CHMP Opinion of MYQORZO® (aficamten) for the Treatment of Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. [cited 2025 Dec 28]. Available from: <https://ir.cytokinetics.com/press-releases/press-release-details/2025/Cytokinetics-Announces-Positive-CHMP-Opinion-of-MYQORZO-Aficamten-for-the-Treatment-of-Obstructive-Hypertrophic-Cardiomyopathy/default.aspx>
- FDA approves drug to improve functional capacity and symptoms in adults with rare inherited heart condition | FDA. [cited 2025 Dec 28]. Available from: <https://www.fda.gov/drugs/news-events-human-drugs/fda-approves-drug-improve-functional-capacity-and-symptoms-adults-rare-inherited-heart-condition>
- Edgewise Therapeutics Announces Positive Top-Line Results from Phase 2 CIRRU5-HCM Four-Week Trial of EDG-7500 in Hypertrophic Cardiomyopathy (HCM). [cited 2025 Dec 28]. Available from: <https://www.prnewswire.com/news-releases/edgewise-therapeutics-announces-positive-top-line-results-from-phase-2-cirrus-hcm-four-week-trial-of-edg-7500-in-hypertrophic-cardiomyopathy-hcm-302417857.html>
- Maron MS, Mahmood M, Abd Samat AH, et al. Safety and Efficacy of Metabolic Modulation With Ninerafaxstat in Patients With Nonobstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. *J Am Coll Cardiol*. 2024;83(21):2037-48. Available from: <https://www.jacc.org/doi/10.1016/j.jacc.2024.03.387>
- Desai MY, Naguev SF, Giudicessi JR, et al. First-in-human study of TN-201, an AAV9 gene replacement therapy in MYBPC3-associated hypertrophic cardiomyopathy: initial safety, pharmacodynamic, and imaging results from MyPEAK-1. *Cardiovasc Res*. 2025;121(17):2628-31. Available from: <https://dx.doi.org/10.1093/cvr/cvaf200>