

Anmodning om vurdering av legemiddel i Nye metoder

Skjema for leverandører

En leverandør som ønsker offentlig finansiering av et legemiddel/legemiddelindikasjon i den norske spesialisthelsetjenesten, skal anmode om vurdering i Nye metoder ved å fylle ut dette skjemaet.

Utfyllt anmodningsskjema sendes til Nye metoder: nyemetoder@helse-sorost.no

Leverandøren skal på anmodningstidspunktet både ha et forslag til type helseøkonomisk analyse og en plan for når de leverer dokumentasjonen. Merk at dokumentasjon i henhold til oppdraget fra Bestillerforum for nye metoder må leveres inn senest 12 måneder etter anmodningstidspunktet.

Hele anmodningsskjemaet skal fylles ut. Mer informasjon og veiledning finnes i artikkelen [For leverandører \(nyemetoder.no\)](https://nyemetoder.no)

Merk: Skjemaet vil bli publisert i sin helhet på nyemetoder.no.

Innsender er klar over at skjemaet vil bli publisert i sin helhet (må krysses av):

Fyll ut dato for innsending av skjema: 11.05.2026

1 Kontaktopplysninger	
1.1 Leverandør (innehaver/søker av markedsføringstillatelse i Norge)	Cytokinetics
1.2 Navn kontaktperson	Hazel Dawson
1.3 Stilling kontaktperson	Senior Director, Market Access UK/Ireland/Nordics
1.4 Telefon	+44 7813 840870
1.5 E-post	hdawson@cytokinetics.com
Ekstern representasjon - vedlegg fullmakt	
1.6 Navn/virksomhet	N/A
1.7 Telefon og e-post	N/A

2 Legemiddelinformasjon og indikasjon	
2.1 Hva gjelder anmodningen? <i>Kryss av for hva anmodningen gjelder</i>	Et nytt virkestoff <input checked="" type="checkbox"/> En indikasjonsutvidelse / ny indikasjon <input type="checkbox"/> En ny styrke eller formulering <input type="checkbox"/>
2.2 Hvilken indikasjon gjelder anmodningen?	Behandling av symptomatisk (New York Heart Association, NYHA, klasse II-III) obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati (oHCM) hos voksne pasienter.

<p><i>Indikasjonen skal oppgis på norsk. Hvis prosess for godkjenning pågår, oppgi også indikasjon på engelsk.</i></p> <p><i>Merk: Leverandør skal anmode om vurdering av hele indikasjonen som de har fått godkjent eller søker om godkjenning for. Dersom leverandør foreslår en avgrensning til undergrupper, må dette begrunnes og leverandør må levere dokumentasjonen som trengs for å foreta en vurdering av undergruppen i tillegg til dokumentasjonen for hele indikasjonen.</i></p>	
<p>2.3 Handelsnavn</p>	<p>MYQORZO</p>
<p>2.4 Generisk navn/virkestoff</p>	<p>aficamten</p>
<p>2.5 ATC-kode</p>	<p>C01EB26 (proposed)</p>
<p>2.6 Administrasjonsform og styrke</p> <p><i>Oppgi også forventet dosering og behandlingstid</i></p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>The dose range is 5 mg to 20 mg (either 5 mg, 10 mg, 15 mg, or 20 mg, flim-coated tablet). The recommended starting dose is 5 mg administered orally and once daily. A starting dose of 10 mg should be considered for patients with left ventricular outflow tract gradient (LVOT-G) \geq 100 mmHg. The dose should be increased every 2 to 8 weeks by 5 mg until a maintenance dose or the maximum dose of 20 mg is achieved. The maintenance dose is individualised based on the patient's left ventricular ejection fraction (LVEF) and left ventricular outflow tract gradient (LVOT-G).</p>
<p>2.7 Farmakoterapeutisk gruppe og virkningsmekanisme.</p> <p><i>Skriv kort</i></p>	<p>Pharmatherapeutic group: Cardiac myosin inhibitor (CMI).</p> <p>Mechanism of action: Aficamten is a reversible allosteric CMI that binds directly to the motor domain of cardiac myosin and prevents it from entering the force-producing state. It is designed to reduce the hypercontractility in the cardiac sarcomere fundamental to the pathophysiology of HCM. The consequent reduction in cardiac contractility reduces LVOT obstruction in HCM patients.</p>

3 Historikk – virkestoff og indikasjon

<p>3.1 Har Nye metoder behandlet metoder med det aktuelle virkestoffet tidligere?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>ID-nummer: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
---	---

<i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	
3.2 Er du kjent med om andre legemidler/virkestoff er vurdert i Nye metoder til samme indikasjon? <i>Hvis ja, oppgi ID-nummer til metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> ID-nummer: ID2023_104
3.3 Er du kjent med om det er gjennomført en metodevurdering i et annet land som kan være relevant i norsk sammenheng? <i>Hvis ja, oppgi referanse</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Referanse: Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

4 Status for markedsføringstillatelse (MT) og markedsføring	
4.1 Har legemiddelet MT i Norge for en eller flere indikasjoner? <i>Hvis ja - skriv inn dato for norsk MT for den første indikasjonen</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Dato for MT for første indikasjon: 12.02.2026
4.2 Markedsføres legemiddelet i Norge?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>
4.3 Har legemiddelet MT i Norge for anmodet indikasjon? <i>For alle metoder: Fyll ut prosedyrenummer i EMA (det europeiske legemiddelbyrået)</i> <i>Hvis metoden ikke har MT i Norge, fyll ut forventet tidspunkt (måned/år) for CHMP opinion i EMA.</i> <i>Hvis metoden har MT i Norge, fyll ut dato for MT</i>	MT i Norge: Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Prosedyrenummer i EMA: EMA/H/C/006228 Hvis metoden ikke har MT: Forventet tidspunkt for CHMP opinion i EMA (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst. Forventet tidspunkt for markedsføringstillatelse (MT) for den aktuelle indikasjonen i Norge (måned/år): Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst. Hvis metoden har MT: Dato for MT i Norge for den aktuelle indikasjonen: 12.02.2026
4.4 Har legemiddelet en betinget markedsføringstillatelse for anmodet indikasjon?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Beskrivelse:

<i>Hvis ja, fyll ut en beskrivelse av hva som skal leveres til EMA og når.</i>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
4.5 Har anmodet indikasjon vært i «accelerated assessment» hos EMA?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>
4.6 Har legemiddelet «orphan drug designation» i EMA? <i>Hvis ja, fyll ut dato</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Dato for «orphan drug designation»: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.

5 Ordning for forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler

5.1 Er legemiddelet registrert i Nye metoders ordning «Forenklet vurdering av PD-(L)1-legemidler»?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/>
--	---

6 Sammenlignbarhet og anbud

6.1 Finnes det andre legemidler med lignende virkningsmekanisme og /eller tilsvarende effekt til den aktuelle indikasjonen?	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Kommentar: Mavacamten, another CMI, is funded in Norway for the treatment of symptomatic oHCM in adult patients in Norway as an adjunctive therapy for patients who do not achieve adequate improvement with BBs or CCBs alone, and as monotherapy for patients who, for medical reasons, cannot use BBs or CCBs. Cytokinetics would like Myqorzo to be assessed for funding in the same patient population and position in the treatment pathway as mavacamten. Based on the indirect treatment comparison (ITC), Myqorzo and mavacamten have comparable efficacy.
6.2 Vurderer leverandør at legemiddelet i anmodningen er sammenlignbart med et eller flere andre legemidler som Nye metoder har besluttet å innføre til den samme indikasjonen? <i>Hvis ja, hvilke(t)? Oppgi ID-nummer på metoden/metodene i Nye metoder</i>	Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/> Legemiddel og ID-nummer: ID2023_104
6.3 Er det eksisterende anbud på terapiområdet som kan være aktuelt for legemiddelet?	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Kommentar:

	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
--	---

7 Nordisk samarbeid JNHB (Joint Nordic HTA-bodies)	
7.1 Er anmodet indikasjon aktuell for utredning i det nordiske HTA-samarbeidet JNHB? <i>Hvis nei, begrunn kort</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Begrunnelse: Treatment practice in oHCM differ between the Nordic countries.

8 Europeisk samarbeid om vurdering av relativ effekt og sikkerhet (HTAR)	
8.1 Er anmodet legemiddel/indikasjon omfattet av regelverket for utredning av relativ effekt og sikkerhet i europeisk prosess (HTAR)? <i>Hvis ja, fyll ut dato for søknad om MT til EMA</i>	Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/> Dato for søknad til EMA: Klikk eller trykk for å skrive inn en dato.

9 Helseøkonomisk dokumentasjon og forslag til helseøkonomisk analyse	
9.1 Hvilken type helseøkonomisk analyse foreslår leverandøren? <i>F.eks. kostnad-per-QALY analyse eller kostnadsminimeringsanalyse.</i> <i>Begrunn forslaget</i>	A cost-comparison analysis is suggested, comparing aficamten to mavacamten for the treatment of symptomatic oHCM in adult patients in Norway. The analysis would compare the use of aficamten as adjunctive therapy to existing standard of care with the use of mavacamten as adjunctive therapy to existing standard of care for patients who do not achieve adequate improvement with beta blockers (BBs) or calcium channel blockers (CCBs) alone, and monotherapy for patients who, for medical reasons, cannot use BBs or CCBs.
9.2 Pasientpopulasjonen som den helseøkonomiske analysen baseres på, herunder eventuelle undergrupper.	Adult patients in Norway suffering from symptomatic oHCM who do not achieve adequate improvement with BBs or CCBs alone, and as monotherapy for patients who, for medical reasons, cannot use BBs or CCBs.
9.3 Hvilken dokumentasjon skal ligge til grunn? (H2H studie, ITC, konstruert komparatorarm etc.)	Mavacamten, a CMI with the same indication as aficamten, was recently recommended in Norway for the treatment of symptomatic (NYHA, class II-III)

<p><i>Angi det som er relevant med tanke på hvilken type analyse som foreslås.</i></p>	<p>oHCM in adults, either in combination with BBs or CCBs or as monotherapy.</p> <p>An indirect treatment comparison (ITC), between Myqorzo and mavacamten, using the Bucher method, will be used as an evidence source for comparative efficacy in the application.</p>
<p>9.4 Forventet legemiddelbudsjett i det året med størst budsjettvirkning i de første fem år.</p>	<p>In NOMA's assessment of mavacamten, the eligible patient population was estimated to be approximately 800 in 2027. The introduction of Myqorzo is not expected to increase the eligible patient population. Further, the introduction of Myqorzo is expected to displace mavacamten use and therefore have no incremental budget impact. A budget impact analysis will be developed for the full dossier.</p>
<p>9.5 Forventet tidspunkt (måned og år) for levering av dokumentasjon til Direktoratet for medisinske produkter og/eller Sykehusinnkjøp HF.</p> <p><i>Tidspunkt må oppgis</i></p>	<p>October 2026</p>

<h2>10 Sykdommen og eksisterende behandling</h2>	
<p>10.1 Sykdomsbeskrivelse for aktuell indikasjon</p> <p><i>Kort beskrivelse av sykdommens patofysiologi og klinisk presentasjon / symptombilde, eventuelt inkl. referanser</i></p>	<p>Hypertrophic cardiomyopathy (HCM) is a chronic, genetically associated and progressive cardiovascular disease characterised by myocardial hypercontractility and left ventricular (LV) hypertrophy (American Heart Association, 2022; Elliott et al., 2014; Ommen et al., 2024).</p> <p>It can be broadly categorised into two forms based on the presence or absence of left ventricular outflow tract obstruction (LVOTO): obstructive HCM (oHCM) and non-obstructive HCM (nHCM). oHCM, which in Norway reportedly accounts for approximately 20-25% of patients with HCM, is characterised by thickening of the interventricular septum and abnormalities such as systolic anterior motion of the mitral valve, leading to dynamic LVOTO, the key pathophysiological mechanism underlying symptoms (Almaas, 2022; Hutt & Desai, 2024; M. Maron et al., 2022b; Young et al., 2018).</p>

	<p>Persistent obstruction increases intraventricular pressure and can lead to reduced cardiac output, mitral regurgitation, ischemia, and diastolic dysfunction (Glavaški et al., 2023).</p> <p>These clinical manifestations correspond to everyday symptoms like: shortness of breath, fatigue, exercise intolerance, palpitations (arrhythmias), dizziness or fainting (Marian and Braunwald 2017).</p> <p>References:</p> <p>Almaas, M.V., UTREDNING OG BEHANDLING AV PASIENTER MED HYPERTROFISK KARDIOMYOPATI FØR HENVISNING TIL SEPTUMREDUSERENDE BEHANDLING. Kardiologisk avdeling, Oslo universitetssykehus, Rikshospitale. 2021.”</p> <p>American Heart Association (2022). "Hypertrophic Cardiomyopathy (HCM). Last reviewed: May 13, 2022. Available from: https://www.heart.org/en/health-topics/cardiomyopathy/what-is-cardiomyopathy-in-adults/hypertrophic-cardiomyopathy. Accessed on: November 2, 2022."</p> <p>Elliott, P. M., et al. (2014). "2014 ESC Guidelines on diagnosis and management of hypertrophic cardiomyopathy: the Task Force for the Diagnosis and Management of Hypertrophic Cardiomyopathy of the European Society of Cardiology (ESC)." <i>Eur Heart J</i> 35(39): 2733–2779.</p> <p>Glavaški, M., et al. (2023). "Hypertrophic Cardiomyopathy: Genetic Foundations, Outcomes, Interconnections, and Their Modifiers." <i>Medicina (Kaunas)</i> 59(8).</p> <p>Hutt, E. and M. Y. Desai (2024). "Medical Treatment Strategies for Hypertrophic Cardiomyopathy." <i>Am J Cardiol</i> 212s: S33–s41.</p> <p>Marian, A. J. and E. Braunwald (2017). "Hypertrophic Cardiomyopathy: Genetics, Pathogenesis, Clinical Manifestations, Diagnosis, and Therapy." <i>Circ Res</i> 121(7): 749–770.</p> <p>Maron, M., et al. (2022). "Hypertrophic cardiomyopathy: Morphologic variants and the pathophysiology of left ventricular outflow tract obstruction. UpToDate. Topic 4947 Version 33.0. Last updated: Sept 06, 2022. Accessed on: November 25, 2022. ."</p>
--	---

	<p>Ommen, S. R., et al. (2024). "2024 AHA/ACC/AMSSM/HRS/PACES/SCMR Guideline for the Management of Hypertrophic Cardiomyopathy: A Report of the American Heart Association/American College of Cardiology Joint Committee on Clinical Practice Guidelines." <i>Circulation</i> 149(23): e1239–e1311.</p> <p>Young, L., et al. (2018). "Hypertrophic cardiomyopathy: A complex disease." <i>Cleve Clin J Med</i> 85(5): 399–411.</p>
<p>10.2 Fagområde</p> <p><i>Angi hvilket fagområde som best beskriver metoden</i></p>	<p>Velg fagområde fra menyen:</p> <p>Hjerte- og karsykdommer</p>
<p>10.3 Kreftområde</p> <p><i>Hvis metoden gjelder fagområdet Kreftsykdommer, angi hvilket kreftområde som er aktuelt</i></p>	<p>Velg kreftområde fra menyen:</p> <p>Velg et element.</p>
<p>10.4 Dagens behandling</p> <p><i>Nåværende standardbehandling i Norge, inkl. referanse</i></p>	<p>There is currently one CMI funded in Norway, mavacamten. It is used as an adjunctive therapy in addition to standard of care for patients who do not achieve adequate improvement with BBs or CCBs alone, and as monotherapy for patients who, for medical reasons, cannot use BBs or CCBs (NOMA 2024, Nye Metoder 2025).</p> <p>Invasive treatment (septal reduction therapy, SRT) to reduce LVOTO should be considered in patients with a LVOTO gradient ≥ 50 mmHg, severe symptoms (NYHA FC III–IV), and/or exertional or unexplained recurrent syncope despite maximally tolerated drug therapy (Arbelo, Protonotarios et al. 2023).</p> <p>References: Arbelo, E., et al. (2023). "2023 ESC Guidelines for the management of cardiomyopathies." <i>Eur Heart J</i> 44(37): 3503–3626.</p> <p>NOMA (2024). Mavakamten (Camzyos) Behandling av symptomatisk (New York Heart Association, NYHA, klasse II-III) obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati (oHCM) hos voksne pasienter ID2023_104.</p>

	<p>Nye Metoder (2025). "Decision - Mavacamten (Camzyos), ID2023_104." from https://www.nyemetoder.no/metoder/id2023_104/.</p>
<p>10.5 Prognose</p> <p><i>Beskriv prognosen med nåværende behandlingstilbud, inkl. referanse</i></p>	<p>Although the prognosis of HCM has improved in recent years, there is currently no cure for it, and most available pharmacological therapies (with the exception of CMIs) primarily manage symptoms rather than modify disease progression. (Maron, Rowin et al. 2024)</p> <p>Most patients achieve a favorable prognosis, including near-normal life expectancy and sustained symptom control. However, the prognosis remains heterogeneous, and a subset of patients continues to be at risk of sudden cardiac death, heart failure progression, and atrial fibrillation-related complications. (Maron, Rowin et al. 2024)</p> <p>Mavacamten, which belongs to the new treatment class of CMIs, improves exercise capacity, symptoms, and other clinically relevant parameters, such as patient-reported outcomes and circulating biomarker. CMIs reduce guideline eligibility for septal reduction therapy candidates with oHCM and drug-refractory symptoms (Braunwald, Saberi et al. 2023, Maron, Masri et al. 2024).</p> <p>References: Braunwald, E., et al. (2023). "Mavacamten: a first-in-class myosin inhibitor for obstructive hypertrophic cardiomyopathy." <i>Eur Heart J</i> 44(44): 4622–4633.</p> <p>Maron, B. J., et al. (2024). "Advances in the Management of Hypertrophic Cardiomyopathy Leading to Low Disease-Related Mortality in 2023." <i>Am J Cardiol</i> 212s: S77–s82.</p> <p>Maron, M. S., et al. (2024). "Impact of Aficamten on Disease and Symptom Burden in Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy." <i>Journal of the American College of Cardiology</i> 84(19): 1821–1831.</p>
<p>10.6 Det nye legemiddelets innplassering i behandlingsalgoritmen</p>	<p>Aficamten is approved for the same patient population as mavacamten and is expected to have the same position in the treatment pathway as mavacamten.</p>

	<p>Aficamten is expected to be used in adult patients suffering from symptomatic oHCM who do not achieve adequate improvement with BBs or CCBs alone, and as monotherapy for patients who, for medical reasons, cannot use BBs or CCBs.</p>
<p>10.7 Pasientgrunnlag</p> <p><i>Beskrivelse, insidens og prevalens av pasienter omfattet av aktuell indikasjon* i Norge, inkl. referanse.</i></p> <p><i>Antall norske pasienter antatt aktuelle for behandling med legemiddelet til denne indikasjonen.</i></p> <p><i>* Hele pasientgruppen som omfattes av aktuell indikasjon skal beskrives</i></p>	<p>The average yearly incidence of oHCM in Norway is approximately 335 persons, and the prevalence is approximately 5,304 patients (Værnø, Oteiza et al. 2024).</p> <p>In NOMA’s assessment of mavacamten, the eligible patient population for the treatment with CMI was estimated at approximately 800 patients in 2027. (NOMA, 2024)</p> <p>It is expected that, following the introduction of MyQorzo, the overall number of patients eligible for the treatment with CMIs will remain stable, with both drugs sharing the market.</p> <p>References: NOMA (2024). Mavacamten (Camzyos) Behandling av symptomatisk (New York Heart Association, NYHA, klasse II-III) obstruktiv hypertrofisk kardiomyopati (oHCM) hos voksne pasienter ID2023_104.</p> <p>Værnø, S. G., et al. (2024). Using Real-World Evidence to Estimate the Societal Burden of Obstructive Hypertrophic cardio myopathy in Norway: Productivity Losses from Absenteeism and Premature Death based on excess mortality. ISPOR Europe 2024; Barcelona, Spain</p>

11 Studiekarakteristika for relevante kliniske studier			
	Studie 1	Studie 2	Studie 3
<p>11.1 Studie-ID</p> <p><i>Studienavn, NCT-nummer, hyperlenke</i></p>	<p>SEQUOIA-HCM, NCT05186818, Study Details NCT05186818 Phase 3 Trial to Evaluate the Efficacy and Safety of Aficamten Compared</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

	to Placebo in Adults With Symptomatic oHCM ClinicalTrials.gov		
11.2 Studietype og -design	A phase 3, multi-center, randomized, double-blind, placebo-controlled trial	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.3 Formål	To evaluate the efficacy and safety of aficamten versus placebo in adults with symptomatic hypertrophic cardiomyopathy (HCM) and left ventricular outflow tract obstruction.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.
11.4 Populasjon <i>Viktige inklusjons- og eksklusjonskriterier</i>	<p>Key Inclusion Criteria:</p> <p>Males and females between 18 and 85 years of age, inclusive, at screening.</p> <p>Body mass index <35 kg/m².</p> <p>Diagnosed with HCM per the following criteria:</p> <p>(1) Has left ventricular (LV) hypertrophy and non-dilated LV chamber in the absence of other cardiac disease and</p>	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.	Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.

	<p>(2) Has an end-diastolic LV wall thickness as measured by the echocardiography core laboratory of:</p> <p>≥15 mm in one or more myocardial segments OR ≥13 mm in one or more wall segments and a known-disease-causing gene mutation or positive family history of HCM</p> <p>Has resting left ventricular outflow tract gradient (LVOT-G) ≥30 mmHg and post-Valsalva LVOT G ≥50 mmHg during screening as determined by the echocardiography core laboratory.</p> <p>Left ventricular ejection fraction (LVEF) ≥60% at screening as determined by the echocardiography core laboratory.</p> <p>New York Heart Association (NYHA) Functional Class II or III at screening.</p> <p>Hemoglobin ≥10g/dL at screening.</p> <p>Respiratory exchange ratio (RER) ≥1.05 and pVO₂ ≤90% predicted on the screening Cardiopulmonary</p>		
--	--	--	--

	<p>Exercise Test (CPET) per the core laboratory.</p> <p>Patients on beta-blockers, verapamil, diltiazem, or disopyramide should have been on stable doses for >6 weeks prior to randomization and anticipate remaining on the same medication regimen during the trial. Patients treated with disopyramide must also be concomitantly treated with a beta blocker and/or calcium channel blocker.</p> <p>Key Exclusion Criteria:</p> <p>Known or suspected infiltrative, genetic or storage disorder causing cardiac hypertrophy that mimics oHCM (eg, Noonan syndrome, Fabry disease, amyloidosis).</p> <p>Significant valvular heart disease (per investigator judgment).</p> <p>History of LV systolic dysfunction (LVEF <45%) or stress cardiomyopathy at any time during their clinical course.</p> <p>Inability to exercise on a treadmill or bicycle (eg, orthopedic limitations).</p> <p>Has been treated with septal reduction therapy (surgical myectomy or percutaneous alcohol septal ablation) or has</p>		
--	--	--	--

	<p>plans for either treatment during the trial period.</p> <p>Documented paroxysmal atrial fibrillation during the screening period.</p> <p>Paroxysmal or permanent atrial fibrillation is only excluded if</p> <ul style="list-style-type: none"> (1) rhythm restoring treatment (eg, direct-current cardioversion, atrial fibrillation ablation procedure, or antiarrhythmic therapy) has been required ≤ 6 months prior to screening, or (2) rate control and anticoagulation have not been achieved for at least 6 months prior to screening. <p>History of syncope or sustained ventricular tachyarrhythmia with exercise within 6 months prior to screening.</p> <p>Has received prior treatment with aficamten or mavacamten.</p>		
<p>11.5 Intervensjon (n)</p> <p><i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i></p>	<p>Aficamten tablets (5 mg, 10 mg, 15 mg, or 20 mg) administered orally once daily as an adjunct to standard of care.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<p>11.6 Komparator (n)</p> <p><i>Dosering, doseringsintervall, behandlingsvarighet</i></p>	<p>Placebo tablets administered orally once daily as an adjunct to standard of care.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.7 Endepunkter</p> <p><i>Primære, sekundære og eksplorative endepunkter, herunder definisjon, målemetode og ev. tidspunkt for måling</i></p>	<p>Primary endpoint: Change in pVO₂ by cardiopulmonary exercise testing (CPET)</p> <p>Secondary endpoints: Change in Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire-Clinical Summary Score (KCCQ-CSS)</p> <p>Proportion of patients with NYHA class improvement</p> <p>Change in post-Valsalva LVOT-G</p> <p>Proportion of patients achieving LVOT-G < 30 mmHg</p> <p>Change in total workload during CPET</p> <p>Duration of guideline eligibility for SRT for patients who were eligible for SRT at baseline</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<p>11.8 Relevante subgruppeanalyser</p> <p><i>Beskrivelse av ev. subgruppeanalyser</i></p>	<p>The key subgroup analysis evaluated patients with and without beta-blocker background therapy. MyQorzo demonstrated efficacy across both subgroups.</p> <p>Other performed subgroup analyses were defined according to sex, age, body mass index, NYHA functional class, left ventricular ejection fraction, NT-proBNP, method of cardiopulmonary exercise testing, peak oxygen uptake, resting left ventricular outflow tract gradient, Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire clinical summary score (KCCQ-CSS) and genetic testing result.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.9 Oppfølgingstid</p> <p><i>Hvis pågående studie, angi oppfølgingstid for data som forventes å være tilgjengelige for vurderingen hos</i></p>	<p>Baseline to Week 24</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

<p><i>Direktoratet for medisinske produkter samt den forventede/planlagte samlede oppfølgingstid for studien</i></p>			
<p>11.10 Tidsperspektiv resultater</p> <p><i>Pågående eller avsluttet studie? Tilgjengelige og fremtidige datakutt</i></p>	<p>Current data cut: 19.12.2023 Next data cut: Not applicable Final analysis: 19.12.2023</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>11.11 Publikasjoner</p> <p><i>Tittel, forfatter, tidsskrift og årstall. Ev. forventet tidspunkt for publikasjon</i></p>	<p>Maron, M. S., Masri, A., Nassif, M. E., Barrialess-Villa, R., Arad, M., Cardim, N., Choudhury, L., Claggett, B., Coats, C. J., Düngen, H. D., Garcia-Pavia, P., Hagège, A. A., Januzzi, J. L., Lee, M. M. Y., Lewis, G. D., Ma, C. S., Michels, M., Olivotto, I., Oreziak, A.,...Abraham, T. P. (2024). Aficamten for Symptomatic Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. N Engl J Med, 390 (20), 1849–1861. https://doi.org/10.1056/NEJMoa2401424</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

12 Igangsatte og planlagte studier

12.1 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet innenfor samme indikasjon som kan gi ytterligere informasjon i fremtiden?

Ja Nei

Open-label Extension Study to Evaluate the Long-term Safety and Tolerability of Aficamten in Adults

<p><i>Hvis ja, oppgi forventet tidspunkt</i></p>	<p>With HCM (FOREST-HCM). NCT04848506. Study Details NCT04848506 Open-label Extension Study to Evaluate the Long-term Safety and Tolerability of Aficamten in Adults With HCM ClinicalTrials.gov</p> <p>The baseline to the end of the study is up to 5 years.</p>
<p>12.2 Er det pågående eller planlagte studier for legemiddelet for andre indikasjoner?</p>	<p>Ja <input checked="" type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p> <p>Phase 3 Trial to Evaluate the Efficacy and Safety of Aficamten Compared to Placebo in Adults With Symptomatic Non-Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy (nHCM), (ACACIA-HCM). NCT06081894. Study Details NCT06081894 Phase 3 Trial to Evaluate the Efficacy and Safety of Aficamten Compared to Placebo in Adults With Symptomatic nHCM ClinicalTrials.gov</p>

<h3>13 Diagnostikk</h3>	
<p>13.1 Vil bruk av legemiddelet til anmodet indikasjon kreve diagnostisk test for analyse av biomarkør?</p> <p><i>Hvis ja, fyll ut de neste spørsmålene</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p>
<p>13.2 Er testen etablert i klinisk praksis?</p> <p><i>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</i></p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Hvis ja, testes pasientene rutinemessig i dag?</p> <p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input type="checkbox"/></p>
<p>13.3 Hvis det er behov for en test som ikke er etablert i klinisk praksis, beskriv behovet inkludert antatte kostnader/ressursbruk</p>	<p>Not applicable.</p>

<h3>14 Andre relevante opplysninger</h3>	
<p>14.1 Har dere vært i kontakt med fagpersoner (for eksempel klinikere) ved norske helseforetak om dette legemiddelet/indikasjonen?</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Cytokinetics will be in contact with a Norwegian clinical expert before submitting the full STA application.</p>

<p><i>Hvis ja, hvem har dere vært i kontakt med og hva har de bidratt med?</i></p> <p><i>(Relevant informasjon i forbindelse med rekruttering av fagekspert i Nye metoder)</i></p>	
<p>14.2 Anser leverandør at det kan være spesielle forhold ved dette legemiddelet som gjør at en innkjøpsavtale ikke kan basere seg på flat rabatt for at legemiddelet skal kunne oppfylle prioriteringskriteriene?</p> <p><i>Hvis ja, begrunn kort.</i></p> <p><i>Hvis ja, skal eget skjema fylles ut og sendes til Sykehusinnkjøp HF samtidig med at dokumentasjon til metodevurdering sendes til Direktoratet for medisinske produkter.</i></p> <p><i>Nærmere informasjon og skjema:</i> Informasjon og opplæring - Sykehusinnkjøp HF</p>	<p>Ja <input type="checkbox"/> Nei <input checked="" type="checkbox"/></p> <p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>
<p>14.3 Andre relevante opplysninger?</p>	<p>Klikk eller trykk her for å skrive inn tekst.</p>

Informasjon om Nye metoder finnes på nettsiden nyemetoder.no