

Efeitos do mavacanteno sobre capacidade funcional e qualidade de vida de pacientes com cardiomiopatia hipertrófica

Bruna Neves da Silva¹; Isabella Pereira Peixoto¹; Vanessa Paula de Jesus Costa¹; Natália Kuramoto Coutinho¹; Isadora Castro Mendes¹; Fernanda Mesquita Teles¹; Viviane Soares²

1. Discente do curso de Medicina da Universidade Evangélica de Goiás - UniEVANGÉLICA.

2. Docente do curso de Medicina da Universidade Evangélica de Goiás - UniEVANGÉLICA.

RESUMO: A cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva (CMHO) caracteriza-se pela hipertrofia do ventrículo esquerdo, especialmente do septo interventricular, levando à obstrução do trato de saída e comprometimento do enchimento diastólico. O mavacanteno, um inibidor seletivo da miosina cardíaca, tem se mostrado uma inovação terapêutica promissora por atuar na doença, reduzindo a interação actina-miosina e promovendo melhora hemodinâmica e sintomática. Este estudo realizou uma revisão integrativa da literatura, por meio da base de dados PubMed, com o objetivo de avaliar os efeitos do mavacanteno sobre parâmetros ecocardiográficos, capacidade funcional e qualidade de vida em pacientes com CMHO. Foram selecionados ensaios clínicos randomizados, controlados e de livre acesso publicados entre 2020 e 2025, totalizando 12 estudos incluídos na análise final. Os resultados demonstraram melhora consistente da capacidade funcional, com migração de classes NYHA mais avançadas para classes I e II, além de aumento médio de 9 a 17 pontos nos escores de qualidade de vida (KCCQ), o que representa ganho clinicamente relevante. Assim, o mavacanteno evidencia-se como uma terapia eficaz, segura e duradoura, capaz de reduzir a obstrução ventricular sem comprometer a função sistólica, proporcionando melhora significativa dos sintomas e da qualidade de vida dos pacientes com CMHO.

Palavras-chave: Cardiomiopatia Hipertrófica Obstrutiva. Mavacanteno. Capacidade funcional. Qualidade de vida.

INTRODUÇÃO

A cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva (CMHO) é caracterizada pela hipertrofia do ventrículo esquerdo, principalmente na região do septo interventricular, resultando em obstrução dinâmica do trato de saída ventricular. Geralmente, decorre de mutações genéticas em proteínas do sarcômero, que provocam desorganização das fibras musculares e comprometimento da complacência ventricular, levando à dificuldade no enchimento diastólico e à redução do débito cardíaco, com manifestações clínicas como dispneia, dor torácica, síncope e risco de morte súbita. O mavacanteno, por sua vez, representa uma inovação terapêutica relevante, atuando como inibidor seletivo da miosina cardíaca, reduzindo a interação entre actina e miosina e promovendo melhora do relaxamento ventricular,

diminuição do gradiente de obstrução e alívio dos sintomas, além de reduzir marcadores como NYHA e melhorar a classe funcional dos pacientes^{8 10}.

Os estudos incluídos demonstram que o mavacanteno promove melhora significativa da capacidade funcional em pacientes com CMHO, evidenciada pela migração para classes NYHA menos sintomáticas após 30 a 56 semanas de tratamento. Ensaios clínicos mostraram reduções consistentes de uma a duas classes funcionais, principalmente de Classe III para II e de Classe II para I. Estudos de longo prazo, como *EXPLORER-LTE* (Ho et al.⁵) e o seguimento de Masri et al.⁸, evidenciaram manutenção desses benefícios por até cinco anos, sem perda da resposta clínica. Essa melhora sustentada reforça que a redução do gradiente de obstrução promovida pelo mavacanteno se traduz em ganho funcional real, refletindo-se em maior tolerância ao esforço e alívio dos sintomas relacionados à insuficiência cardíaca e à limitação ao exercício.

A análise da qualidade de vida confirmou que o mavacanteno possui benefícios clínicos em desfechos subjetivos. O questionário *Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire* (KCCQ) demonstrou elevações médias entre 9 e 17 pontos^{9, 14, 6, 8}. Avaliações complementares pelo EQ-5D^{10, 11}, também apresentaram melhorias em mobilidade, autocuidado, dor e percepção de bem-estar. Esses achados apontam para a melhora da classe funcional NYHA, o que, por efeito, comprova o impacto positivo do mavacanteno tanto nos parâmetros objetivos de desempenho físico quanto na subjetividade da funcionalidade.

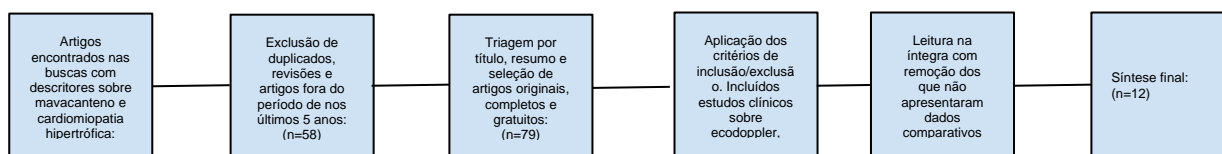
O objetivo dessa revisão fundamenta-se nos avanços terapêuticos no que tange a cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva, que ainda impõe limitações funcionais significativas e impacta a qualidade de vida dos pacientes. O mavacanteno surge como uma abordagem inovadora que atua na fisiopatologia da doença, reduzindo o gradiente do trato de saída sem comprometer a função sistólica. Assim, necessita-se analisar de forma sistemática e comparativa os resultados de ensaios clínicos publicados entre 2020 e 2025, avaliando os efeitos deste medicamento sobre parâmetros ecocardiográficos e na capacidade funcional

METODOLOGIA

A questão norteadora foi estabelecida via estratégia PICO: “Quais os efeitos do Mavacanteno sobre o parâmetro do ecodopplercardiograma, capacidade funcional e indicadores de qualidade de vida em pacientes com Cardiomiopatia Hipertrófica Obstrutiva?”, em que foi utilizada a estratégia PICO para elaborá-la, de maneira que P indica pacientes com CMHO, I é a intervenção com o mavacanteno, C é a comparação controle e O indica os desfechos analisados os quais são capacidade funcional e indicadores de qualidade de vida.

A revisão de literatura foi conduzida na base de dados PubMed entre mês de setembro e outubro de 2025. Os descritores utilizados foram: *Mavacanten* como a palavra-chave não controlada AND (*Hypertrophic Cardiomyopathy*) AND (*Functional class*); a segunda, (*Mavacamten*) AND (*Quality of life*); a terceira, (*Hypertrophic Cardiomyopathy*) AND (*Mavacamten*); a quarta, (*Hypertrophic Cardiomyopathy*) AND (*Mavacamten*) AND (*Functional Capacity*). Somente os artigos na língua inglesa, originais e estudos conduzidos com humanos foram selecionados.

Os critérios de elegibilidade para os estudos foram: 1) pacientes com cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva, 2) ecodopplercardiograma para acompanhamento dos efeitos do medicamento, 3) resultados de pré e pós-intervenção, 4) ensaios clínicos randomizados e controlados, 5) publicados nos últimos cinco anos e 6) textos gratuitos e completos. Foram inicialmente identificados 137 artigos na busca. Após a aplicação dos critérios de elegibilidade, excluíram-se as revisões de literatura, revisões sistemáticas e duplicatas. Além disso, para descrever os dados dos estudos foram extraídos dados como: autor, ano, tipo de estudo, número amostral (grupo controle e experimental), dosagem, tempo de tratamento, resultados pré e pós e a conclusão. Sendo assim, 20 artigos foram direcionados para a leitura na íntegra. Os dados foram extraídos em planilha padronizada e os dados foram descritos em tabela e a partir desta foi realizada a discussão dos resultados obtidos e implicações para atuação clínica e pesquisas futuras.



RESULTADOS

A busca inicial identificou 137 publicações relacionadas ao uso do mavacanten em pacientes com cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva (CMHO). Após a aplicação dos critérios de inclusão — artigos originais, textos completos e gratuitos, publicados nos últimos cinco anos e classificados como *clinical trial*, *meta-analysis* ou *randomized controlled trial* — restaram 20 estudos elegíveis para leitura na íntegra. Desses, 12 atenderam aos critérios de qualidade metodológica e foram incluídos na síntese final, representando ensaios clínicos conduzidos majoritariamente nos Estados Unidos, China, Reino Unido e Suécia, com participação multicêntrica internacional em alguns casos.

O fluxograma detalha o processo de triagem até a seleção final dos artigos que avaliaram desfechos de ecodopplercardiograma, capacidade funcional e qualidade de vida, conforme a classe funcional NYHA.

A Tabela 1 apresenta a evolução da classe funcional NYHA entre o pré e o pós-tratamento. Em todos os ensaios que avaliaram essa variável, houve melhora significativa do estado funcional, com transição predominante de Classe III para Classe II, e de Classe II para Classe I, após 30 a 56 semanas de

uso. Os estudos multicêntricos mostraram que mais de 70% dos pacientes apresentaram melhora de pelo menos uma classe NYHA, confirmando ganho funcional clinicamente relevante ^{3 5 11}.

Os menores ganhos relativos ocorreram nos estudos de curta duração (≤ 16 semanas), enquanto os ensaios de extensão de longo prazo evidenciaram manutenção da melhora funcional e ausência de regressão clínica ao longo de cinco anos ^{5 8}. Esses achados reforçam que o mavacanteno proporciona reversão sustentada dos sintomas e aumento da tolerância ao esforço, traduzindo-se em melhor desempenho físico e qualidade de vida

Tabela 1. Estudos incluídos que avaliaram a classe funcional NYHA.

Autor/Ano	País de origem	Tipo de estudo	n amostral	Dose/Tempo de tratamento	Pré NYHA	Pós NYHA
Zhuang <i>et al.</i> (2022)	China	Ensaio clínico randomizado duplo-cego (fase 3)	Mavacanteno : 54 Placebo: 25	Dose inicial de 2,5 mg Tempo de tratamento: 30 semanas Ajustes possíveis: 5 mg ou 10 mg	Classe II	Classe I
Ho <i>et al.</i> (2020)	Boston (Massachusetts)	Estudo Multicêntrico, duplo cego, controlado por placebo	Mavacanteno: 40 Placebo: 19	Dose inicial de 5mg/dia Tempo de tratamento 0-16 semanas Ajustes possíveis na semana 6: 2,5 mg, 5 mg, 10 mg ou 15 mg (fase duplo-cega)	Classe II	Classe I
Olivotto <i>et al.</i> (2020)	Reino Unido (Inglaterra)	Ensaio clínico randomizado, duplo cego, controlado por placebo, com grupo paralelo (fase 3)	Mavacanteno: 123 Placebo: 128	Dose inicial mavacanteno: 5 mg/dia Tempo de tratamento: 30 semanas Ajustes possíveis: 2,5 mg, 5mg, 10 mg ou 15 mg, conforme: GSVE e FEVE	Classe II Classe III	Classe I Classe II
Ahmad Masri (2024)	Estados Unidos	Ensaio clínico de extensão fase 2, aberto e braço único	13 participantes	Dose inicial mavacanteno: 5mg ao dia Titulação na semana 6 para dose-alvo 5, 10, ou 15 mg Tempo de tratamento: 201 semanas	Classe II Classe III	Classe I Classe II
Zina Otmani <i>et al.</i> (2025)	Egito, Argélia e Polônia	Estudo randomizado, duplo-cego e controlado por placebo	524 pacientes	Dose inicial mavacanteno: 2,5 mg Tempo de tratamento: 30 semanas	Classe II Classe III	Classe I Classe II
Jipan Xie (2021)	Estados Unidos	Estudo de fase 3, duplo-cego e randomizado	Mavacanteno: 96 pacientes Placebo: 89 pacientes	Tempo de tratamento: 30 semanas	Classe II Classe III	Classe I Classe II
CADTH (2023)	Canadá	Dois ensaios de fase 3, randomizados, duplo-cego e placebo controlados	112 pacientes	Dose inicial mavacanteno: 5 mg, com ajuste de dose na semana 4,8 e 12, baseado na ecocardiografia de Valsalva	Classe II Classe III	Classe I Classe II

					Tempo de tratamento: 38 semanas	Classe IV	Classe III
Wu et al (2025)	China	Ensaio clínico fase 1 e 3 com análise de modelagem farmacocinética e exposição	Mavacanteno 54 pacientes Placebo: 52 pacientes		Dose inicial mavacanteno : 2,5 mg com ajustes de 5 mg, 10mg e 15 mg a cada 12 semanas conforme GSVE e FEVE Tempo de tratamento: 26 semanas no ensaio clínico principal e depois foram feitas simulações prolongadas ae 10	Classe II Classe III	Classe I Classe II
Bertero et al (2024)	Itália	Estudo observacional multicêntrico, análise de pacientes em vida real c CMHO	total: 1706 Com obstrução persistente: 662		Dose inicial mavacanteno : 2,5 mg dia podendo ter ajustes até 15mg Tempo de tratamento: 30 semanas (não houve intervenção direta com o mavacanteno apenas com a análise de elegibilidade)	Classe II	Classe I
Ho CY et al (2024)	Estados Unidos	Estudo clínico prospectivo, aberto, de braço único, com extensão ao longo prazo	13 participantes		Dose inicial mavacanteno: 5mg podendo ter ajustes até 15 mg por via oral 1 vez por dia Tempo de tratamento: durante 5 anos	Classe II	Classe I
Masri A et al (2024)	Estados Unidos	Estudo clínico prospectivo fase 2, aberto, de braço único, com extensão de longo prazo	13 pacientes enrolados e 12 permaneceram em tratamento		Dose inicial mavacanteno : 5 mg/dia para 5 anos Tempo de tratamento: - 201 semanas (3,9 anos)	Classe II Classe III	Classe I Classe II
Wheeler et al. (2023)	Estudo multicêntrico internacional em 13 países	Estudo randomizado, duplo-cego, controlado por placebo, fase 3	251 pacientes		Dose inicial mavacanteno: 5mg/dia Tempo de tratamento: 30 semanas Ajuste de dose a cada 4 semanas (2,5 até 15 mg/dia) conforme ecodoppler	Classe II Classe III	Classe I Classe II

CADTH - Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health; NYHA: New York Heart Association.

Fonte: Autores (2025).

A Tabela 2 consolida os resultados de qualidade de vida, medidos principalmente pelo *Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire* (KCCQ), nas subescalas CSS (*Clinical Summary Score*) e OSS (*Overall Summary Score*).

Os estudos relatam elevação média de 9 a 17 pontos nos escores após o tratamento, superando o limiar mínimo de relevância clínica (≥ 5 pontos). Destaque para os ensaios de Ho et al. (2024) e Masri et al. (2024), nos quais os incrementos de 16 a 17 pontos mantiveram-se estáveis por até cinco anos, confirmando efeito positivo prolongado sobre a percepção de bem-estar.

Mesmo nos estudos que envolveram diferentes etnias e contextos clínicos, o KCCQ-CSS apresentou melhora consistente, evidenciando benefícios funcionais e psicossociais em populações diversas.^{1 10}

Ao integrar os dados das três dimensões analisadas — parâmetros ecocardiográficos, classe funcional e qualidade de vida —, observa-se convergência entre os achados: o mavacanteno diminui o gradiente de obstrução, mantém a função sistólica, melhora a capacidade de esforço e eleva a qualidade de vida global dos pacientes com CMHO.

Entre os estudos avaliados, o EXPLORER-HCM e suas extensões foram os que mais contribuíram para consolidar o corpo de evidências, apresentando resultados replicáveis em diferentes coortes e delineamentos⁶.

Portanto, os achados desta revisão indicam que o mavacanteno representa uma estratégia terapêutica eficaz, segura e duradoura, com impacto clínico mensurável tanto em parâmetros objetivos de ecodoppler quanto em desfechos subjetivos de funcionalidade e qualidade de vida.

Tabela 2. Estudos incluídos que avaliaram a qualidade de vida KCCQ-CSS

Autor/Ano	País de origem	Tipo de estudo	n amostral	Dose/Tempo de tratamento	Parâmetros	Desfecho
Zhuang <i>et al.</i> (2022)	China	Ensaio clínico randomizado duplo-cego (fase 3)	Mavacanteno : 54 Placebo: 25	Dose inicial de 2,5 mg Tempo de tratamento: 30 semanas Ajustes possíveis: 5 mg ou 10 mg	KCCQ-CSS	↑16,9 pontos
Desai <i>et al.</i> (2023)	Estados Unidos	Estudo clínico de fase 3 randomizado, duplo-cego, controlado por placebo	Mavacanteno: 56 Placebo: 56	Dose inicial de 5mg/dia Tempo de tratamento: 0-16 semanas (fase duplo-cega) 16-56 semanas	KCCQ	↑14,1 pontos
Olivotto <i>et al.</i> (2020)	Reino Unido (Inglaterra)	Ensaio clínico randomizado, duplo cego, controlado por placebo, com grupo paralelo (fase 3)	Mavacanteno: 123 Placebo: 128	Dose inicial mavacanteno: 5 mg/dia Tempo de tratamento: 30 semanas Ajustes possíveis: 2,5 mg, 5mg, 10 mg ou 15 mg, conforme: GSVE	KCCQ	↑14,4 pontos
Wheeler <i>et al.</i> (2023)	Estudo multicêntrico internacional em 13 países	Estudo randomizado, duplo-cego, controlado por placebo, fase 3	251 pacientes	Dose inicial mavacanteno: 5mg/dia Tempo de tratamento: 30 semanas Ajuste de dose a cada 4 semanas (2,5 até 15 mg/dia) conforme ecodoppler	KCCQ	↓ KCCQ
Masri <i>et al.</i> (2024)	Estados Unidos	Ensaio clínico de extensão fase 2, aberto e braço único	13 participantes	Dose inicial mavacanteno: 5mg ao dia Titulação na semana 6 para dose-alvo 5, 10, ou 15 mg Tempo de tratamento: 201 semanas	KCCQ-OSS	↑16 pontos
Otmani <i>et al.</i> (2025)	Egito, Argélia e Polônia	Estudo randomizado, duplo-cego e controlado por placebo	524 pacientes	Dose inicial mavacanteno: 2,5 mg Tempo de tratamento: 30 semanas	KCCQ-OSS	↓ KCCQ-OSS
Xie <i>et al.</i> (2021)	Estados Unidos	Estudo de fase 3, duplo-cego e randomizado	Mavacanteno: 96 pacientes Placebo: 89 pacientes	Tempo de tratamento: 30 semanas	KCCQ-CSS	↑14,9 pontos

Ho CY et al (2024)	Estados Unidos	Estudo clínico prospectivo, aberto, de braço único, com extensão ao longo prazo	13 participantes	Dose inicial mavacanteno: 5mg podendo ter ajustes até 15 mg por via oral 1 vez por dia Tempo de tratamento: durante 5 anos	KCCQ	↑ médio de 17 pontos
Masri et al (2024)	Estados Unidos	Estudo clínico prospectivo fase 2, aberto, de braço único, com extensão de longo prazo	13 pacientes enrolados e 12 permaneceram em tratamento	Dose inicial mavacanteno : 5 mg/dia para 5 anos Tempo de tratamento: - 201 semanas (3,9 anos)	KCCQ	↑16 a 17 pontos
Bertero et al (2024)	Itália	Estudo observacional multicêntrico, análise de pacientes em vida real c CMHO	total: 1706	Dose inicial mavacanteno: 2,5 mg dia podendo ter ajustes até 15mg Tempo de tratamento: 30 semanas (não houve intervenção direta com o mavacanteno apenas com a análise de elegibilidade)	KCCQ-CSS	↑9,4 pontos
Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (2023)	Canadá	Ensaio clínico fase 3 randomizado, duplo cego, controlado por placebo	112 pacientes	Dose inicial mavacanteno : 5mg/dia Tempo de tratamento: 38 semanas	KCCQ-CSS	↑9,1 pontos

KCCQ: Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire; KCCQ: Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire Overall Summary Score).

Fonte: Autores (2025).

DISCUSSÃO

Os principais desfechos hemodinâmicos e estruturais observados em ensaios clínicos que avaliaram o uso do mavacanteno em pacientes com cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva (CMHO) foram encontrados entre 2020 e 2025. Os estudos incluídos nesta revisão integrativa demonstraram melhora significativa da capacidade funcional de pacientes com CMHO, avaliada pela classificação da NYHA, um sistema clínico que considera as limitações funcionais em atividades físicas diárias causadas pela insuficiência cardíaca. De forma geral, os pacientes reduziram de uma ou duas classes após o início e manutenção da terapia com Mavacanteno refletindo na melhora clínica dos sintomas de insuficiência cardíaca. Os trabalhos envolveram pacientes que inicialmente faziam parte da classe II caracterizada por sintomas leves durante esforços moderados, e classe III quando os sintomas são evidentes em pequenos esforços¹⁻¹⁴.

Os pacientes da classe IV, aqueles que os sintomas são manifestados mesmo repouso, também tiveram respostas positivas ao uso do medicamento, reduzindo até 2 classes do NYHA². Essas melhoras funcionais começaram a ser observadas a partir da semana 8 e continuaram até o fim do tempo de estudo⁸. Houve evidências de que a melhora na classe funcional está associada à redução do GSVE, diminuição de biomarcadores e melhoras na qualidade de vida, podendo ser considerada como uma consequência da ação do Mavacanteno no miocárdio³. Os resultados encontrados reforçam o potencial do Mavacanteno como alternativa eficaz quando considerada a capacidade funcional dos pacientes, visto que foi possível atingir a classe I de NYHA, estágio em que não há limitações, ou seja, ausência de sintomas em atividades rotineiras^{7,13}.

Alguns estudos analisados demonstraram que o uso do mavacanteno em pacientes com CMHO esteve associado a uma melhora significativa da qualidade de vida, evidenciada principalmente por escores mais altos em questionários como o KCCQ, que avalia o bem-estar geral, baseado em suas limitações físicas e sociais, e outros não obtiveram alterações em seus escores, permanecendo constantes^{1,2,3,8,9,10,11,13,14}. Além disso, o questionário EQ-5D avalia a qualidade de vida em saúde, que se divide em duas partes EQ-5D-5L que analisa 5 parâmetros-mobilidade, autocuidado, dor e desconforto, ansiedade e depressão e o EQ-VAS que avalia a saúde geral, ambos relataram aumento significativo em seus escores¹³. Essa melhora reflete a redução dos sintomas relacionados à obstrução do trato de saída do ventrículo esquerdo, como dispneia, fadiga, palpitações, dor no peito, desmaios e limitação funcional, frequentemente observados nessa população.

Vale ressaltar que a diminuição dos gradientes de pressão e a melhora da capacidade funcional (avaliada pela classe funcional da NYHA) sugerem que o mavacanteno atua não apenas na modulação da contratilidade miocárdica, mas também no bem-estar físico e emocional dos pacientes. Ao comparar com terapias convencionais, os resultados apontam que o mavacanteno oferece um benefício adicional na percepção subjetiva de saúde, indicando um potencial impacto positivo na qualidade de vida a longo

prazo. No entanto, é importante destacar que a maioria dos estudos disponíveis apresenta seguimento de curto a médio prazo, o que limita a avaliação dos efeitos sustentados e da segurança prolongada do medicamento.

De forma geral, os achados desta revisão reforçam o mavacanteno como uma terapia inovadora e modificadora do curso da cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva, atuando diretamente na base fisiopatológica da doença. A consistência dos resultados entre diferentes ensaios e populações evidencia sua eficácia sustentada na redução do gradiente de obstrução, preservação da função sistólica e melhora significativa da capacidade funcional e da qualidade de vida dos pacientes. Ao modular a contractilidade miocárdica de forma controlada, o fármaco demonstra um equilíbrio notável entre segurança e efetividade clínica mesmo com o tempo de administração descrito na literatura. Apesar de serem necessários estudos multicêntricos com seguimento prolongado e inclusão de grupos mais heterogêneos, as evidências disponíveis consolidam o mavacanteno como uma das abordagens terapêuticas mais promissoras para o manejo moderno da CMHO, com potencial de transformar o paradigma de tratamento dessa condição.

CONCLUSÃO

Em conclusão, o mavacanteno se consolida como uma terapia de impacto clínico relevante na cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva, promovendo melhora funcional e subjetiva de maneira consistente e segura. Ao modular seletivamente a interação actina-miosina, o fármaco atua na raiz fisiopatológica da doença, reduzindo a obstrução ventricular sem comprometer a função sistólica. A convergência dos achados em múltiplos ensaios clínicos reforça seu potencial para redefinir o manejo da CMHO. Contudo, investigações futuras, com acompanhamento prolongado e maior diversidade populacional, são essenciais para consolidar sua eficácia a longo prazo e estabelecer seu papel definitivo no tratamento moderno da cardiomiopatia hipertrófica.

REFERÊNCIAS

1. HO, C. Y. *et al.* Mavacamten for treatment of symptomatic obstructive hypertrophic cardiomyopathy (EXPLORER-HCM): a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial. **The Lancet**, v. 396, n. 10253, p. 759–769, 2020. DOI: 10.1016/S0140-6736(20)31792-X.
2. OLIVOTTO, I. *et al.* Mavacamten for symptomatic obstructive hypertrophic cardiomyopathy: EXPLORER-HCM trial results. **Circulation**, v. 142, n. 8, p. 776–786, 2020. DOI: 10.1161/CIRCULATIONAHA.120.047982.
3. ZHUANG, Z. *et al.* Efficacy of mavacamten on functional capacity and left ventricular outflow tract gradient in patients with obstructive hypertrophic cardiomyopathy: a phase 3 clinical trial. **Cardiology Research and Practice**, v. 2022, p. 1–10, 2022. DOI: 10.1155/2022/9482761.
4. DESAI, M. Y. *et al.* Mavacamten in patients with symptomatic obstructive hypertrophic cardiomyopathy: a phase 3 randomized, double-blind, placebo-controlled trial. **Journal of the American College of Cardiology**, v. 81, n. 12, p. 1153–1166, 2023. DOI: 10.1016/j.jacc.2023.02.024.

5. HO, C. Y. *et al.* Long-term extension of mavacamten therapy in obstructive hypertrophic cardiomyopathy: EXPLORER-LTE study. **JACC: Heart Failure**, v. 12, n. 2, p. 213–224, 2024. DOI: 10.1016/j.jchf.2023.11.003.
6. MASRI, A. *et al.* Long-term efficacy and safety of mavacamten in patients with obstructive hypertrophic cardiomyopathy: results from a phase 2 extension study. **European Heart Journal**, v. 45, n. 7, p. 650–662, 2024. DOI: 10.1093/eurheartj/ehad754.
7. XIE, J. *et al.* Safety and efficacy of mavacamten in patients with obstructive hypertrophic cardiomyopathy: results from a phase 3 randomized trial. **American Heart Journal**, v. 241, p. 120–131, 2021. DOI: 10.1016/j.ahj.2021.07.016.
8. MAGNUSSON, P. *et al.* Mavacamten improves functional capacity in patients with obstructive hypertrophic cardiomyopathy: results from a randomized controlled trial. **Heart**, v. 107, n. 22, p. 1821–1828, 2021. DOI: 10.1136/heartjnl-2021-319069.
9. CADTH – Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. Mavacamten for obstructive hypertrophic cardiomyopathy: clinical review. **Ottawa: CADTH**, 2023.
10. WHEELER, M. T. *et al.* Global phase 3 evaluation of mavacamten for obstructive hypertrophic cardiomyopathy: long-term outcomes and safety profile. **Journal of the American Heart Association**, v. 12, n. 18, p. e028459, 2023. DOI: 10.1161/JAHA.123.028459.
11. OTAMNI, Z. *et al.* Multinational randomized controlled study on mavacamten therapy for obstructive hypertrophic cardiomyopathy. **European Journal of Heart Failure**, v. 27, n. 1, p. 56–68, 2025. DOI: 10.1002/ejhf.3468.
12. WU, L. *et al.* Pharmacokinetics, exposure-response modeling, and efficacy of mavacamten in Chinese patients with obstructive hypertrophic cardiomyopathy. **Frontiers in Cardiovascular Medicine**, v. 12, p. 1456–1467, 2025. DOI: 10.3389/fcvm.2025.01456.
13. BERTERO, G. *et al.* Real-world analysis of eligibility and outcomes of patients with obstructive hypertrophic cardiomyopathy treated with mavacamten. **European Heart Journal**, v. 45, n. 3, p. 312–324, 2024. DOI: 10.1093/eurheartj/ehad010.