

2026

MAVACAMTEN EN MIOCARDIOPATÍA HIPERTRÓFICA OBSTRUCTIVA

AETS Mendoza



SECCIONES DE ESTE DOCUMENTO

TÍTULO: Mavacamten en miocardiopatía hipertrófica obstructiva.

I. RESUMEN

II. INFORME DE EVALUACIÓN DE TECNOLOGÍA SANITARIA

I. RESUMEN

Introducción: La miocardiopatía hipertrófica (MCH) es un trastorno cardíaco genético caracterizado por hipertrofia ventricular izquierda. Su etiología responde hasta en un 30 a 50% de los casos a variantes genéticas patogénicas que codifican proteínas del sarcómero, tiene una prevalencia estimada de 1 en 500 personas y es una de las principales causas de muerte súbita cardíaca en personas jóvenes. Los pacientes pueden presentar disnea, angina o síncope de esfuerzo y complicaciones graves como insuficiencia cardíaca y arritmias, afectando la calidad de vida relacionada con la salud. La MCH se divide según el grado de obstrucción del tracto de salida del ventrículo izquierdo (TSVI) siendo la miocardiopatía hipertrófica obstructiva (MCHo), caracterizada por gradiente de presión ≥ 30 mmHg en reposo o tras maniobra de valsalva, la que representa al 70% de todos los pacientes con diagnóstico de MCH. El tratamiento de primera línea son los betabloqueantes y/o bloqueantes de los canales de calcio y si persiste la sintomatología la terapia de reducción septal (TRS) sería el siguiente paso. **Tecnología:** Mavacamten es un inhibidor selectivo y reversible de la ATPasa de miosina cardíaca que modula la contractilidad miocárdica. Disminuye la formación de puentes cruzados entre actina y miosina, reduciendo la hipercontractilidad característica de la miocardiopatía hipertrófica.

Objetivos: Evaluar eficacia y seguridad de mavacamten en el tratamiento de la miocardiopatía hipertrófica obstructiva sintomática en adultos, el impacto en el gasto público, en la salud pública, en la equidad y el posible impacto ambiental de la incorporación de mavacamten en la condición de MCHo sintomática en adultos.

Metodología: Se realizó una pregunta de investigación y una búsqueda bibliográfica genérica que detectó un informe de ETS de Argentina de 2025, se evaluó su pertinencia para adaptar al contexto provincial, y se completó la búsqueda hasta mayo de 2026. Se valoró la calidad de la evidencia con GRADE y se realizó el impacto presupuestario de la tecnología en la provincia. **Resultados:** Surgen de un total de 23 informes seleccionados y analizados. Para los desenlaces críticos mavacamten disminuiría el número de pacientes elegibles para TRS, mejoraría la calidad de vida relacionada con la salud y no aumentaría significativamente los eventos adversos graves. Con respecto a los desenlaces importantes disminuye los gradientes de TSVI (reposo y post-Valsalva), mejoraría la clase funcional NYHA y habría un leve incremento de los efectos adversos emergentes del tratamiento.

Conclusiones: El efecto en la salud de mavacamten en la MCHo sintomática se valora como considerable. En el gasto público, la incorporación de mavacamten resultaría en un alto impacto presupuestario. El impacto en salud pública se valora como probablemente positivo.

Fecha de publicación: 21-08-2026.



TITLE: Mavacamten in obstructive hypertrophic cardiomyopathy.

ABSTRACT

Introduction: Hypertrophic cardiomyopathy (HCM) is a genetic cardiac disorder characterized by left ventricular hypertrophy. Its etiology is attributable to pathogenic genetic variants encoding sarcomeric proteins in up to 30–50% of cases; it has an estimated prevalence of 1 in 500 people and is one of the leading causes of sudden cardiac death in young people. Patients may present with dyspnea, angina, or exertional syncope, as well as severe complications such as heart failure and arrhythmias, affecting health-related quality of life. HCM is classified according to the degree of left ventricular outflow tract (LVOT) obstruction; obstructive hypertrophic cardiomyopathy (oHCM) is defined by a pressure gradient ≥ 30 mmHg at rest or after Valsalva maneuver, accounting for 70% of all patients diagnosed with HCM. First-line treatment consists of beta-blockers and/or calcium-channel blockers, and if symptoms persist, septal reduction therapy is the next step. **Technology:** Mavacamten is a selective, reversible inhibitor of cardiac myosin ATPase that modulates myocardial contractility. It reduces the formation of actin-myosin cross-bridges, thereby decreasing the hypercontractility characteristic of hypertrophic cardiomyopathy. **Objectives:** To assess the efficacy and safety of mavacamten in the treatment of symptomatic obstructive hypertrophic cardiomyopathy in adults, along with its impact on public spending, public health, equity, and the potential environmental impact of incorporating mavacamten for symptomatic oHCM in adults. **Methodology:** A research question was formulated and a generic literature search was conducted, which identified a 2025 Argentine HTA report; its relevance was assessed for adaptation to the provincial context, and the search was completed through May 2026. The quality of evidence was assessed using GRADE, and a budget impact analysis of the technology was carried out for the province. **Results:** Findings are drawn from a total of 23 selected and analyzed reports. For critical outcomes, mavacamten would reduce the number of patients eligible for septal reduction therapy, improve health-related quality of life, and not significantly increase serious adverse events. Regarding important outcomes, it reduces LVOT gradients (resting and post-Valsalva), would improve NYHA functional class, and would result in a slight increase in treatment-emergent adverse effects. **Conclusions:** The health effect of mavacamten in symptomatic oHCM is rated as substantial. In terms of public spending, the incorporation of mavacamten would result in a high budget impact. The impact on public health is assessed as likely positive.

Publication date: 21-08-2026.



II. INFORME DE EVALUACIÓN DE TECNOLOGÍA SANITARIA

El presente informe de evaluación se elabora considerando la tecnología postulada en la convocatoria 2026 de la Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias (AETS), respecto de la pertinencia de incorporación de mavacamten para el tratamiento de pacientes mayores de 18 años con diagnóstico de miocardiopatía hipertrófica obstructiva sintomática.

La presente evaluación forma parte del plan anual de evaluaciones priorizadas, según lo establece el Art. 1° del Decreto Reglamentario de la Ley 9.547 (Decreto N° 1.777/24).

Contenido

1- Introducción	5
Consulta recibida	6
2- Tecnología	7
3- Objetivos y preguntas de investigación	8
4- Metodología	10
5- Resultados	11
5.1- Búsqueda bibliográfica	11
5.2- Efectos para la salud: eficacia y seguridad	12
5.3- Otros informes de ETS	19
5.4- Guías de práctica clínica y políticas de cobertura	20
5.5- Impacto sobre el gasto público	21
5.5.1- Estimación de la población objeto	21
5.5.2- Estimación del costo del tratamiento	23
5.5.3- Estimación del impacto presupuestario	25
5.6- Impacto en la salud pública	28
5.6.1- Carga de enfermedad - Políticas sanitarias	28
5.6.2- Impacto en la equidad	29
5.6.3- Impacto ambiental	29
5.7- Aspectos de implementación	30
6- Contribuciones de consulta pública	31
7- Comité consultivo de la AETS	32
8- Conclusión	32
9- Valoración realizada	33
10- Anexo I	35
11- Anexo II	36
12- Anexo III	39
13- Bibliografía	40



1- Introducción

La miocardiopatía hipertrófica (MCH) es un trastorno cardíaco genético caracterizado por hipertrofia ventricular izquierda. El diagnóstico inicial se apoya en criterios morfológicos y funcionales. Su etiología responde hasta en un 30 a 50% de los casos a variantes genéticas patogénicas que codifican proteínas del sarcómero. Es la cardiopatía genética más frecuente y una de las principales causas de muerte súbita cardíaca (MSC) en personas jóvenes por lo que las guías recomiendan el tamizaje y el seguimiento familiar.¹ El fenotipo hipertrófico puede además ser producido por enfermedades genéticas no sarcoméricas (genocopias) como: enfermedad de Fabry, Danon, glucogenosis, amiloidosis hereditaria, y enfermedades mitocondriales o neuromusculares.²

La expectativa de vida suele ser similar a la población general, aunque la heterogeneidad genética y los factores ambientales determinan fenotipos morfológicos y trayectorias evolutivas distintas. Una de las principales causas de mortalidad en estos pacientes es la muerte súbita (MS) por arritmias ventriculares, que junto con la insuficiencia cardíaca (IC) y los eventos tromboembólicos, provocan una incidencia anual de muerte de 1-2%.¹

Tiene una prevalencia estimada de 1 en 500 personas y afecta tanto a hombres como a mujeres independientemente de su etnia.^{3,4} Puede presentarse con síntomas variables como disnea, angina o síncope de esfuerzo y complicaciones graves como insuficiencia cardíaca, arritmias y muerte súbita.¹ La enfermedad puede generar una reducción significativa de la capacidad funcional y de la calidad de vida relacionada con la salud, limitando las actividades cotidianas y la tolerancia al ejercicio. La gravedad de los síntomas se evalúa mediante la clasificación funcional de la New York Heart Association (NYHA), que categoriza a los pacientes desde clase funcional (CF) I (sin limitación de la actividad física) hasta CF IV (síntomas en reposo o incapacidad para realizar cualquier actividad física sin molestias).⁵

La MCH se divide según el grado de obstrucción del tracto de salida del ventrículo izquierdo (TSVI) y del gradiente de presión en reposo en dos tipos: miocardiopatía hipertrófica obstructiva (MCHo) (gradiente de presión ≥ 30 mmHg) y miocardiopatía hipertrófica no obstructiva (MCHno) (gradiente de presión < 30 mmHg).⁶ Aproximadamente el 70% de los pacientes con miocardiopatía hipertrófica presentan obstrucción del TSVI en reposo o inducible mediante maniobras de provocación, mientras que el resto corresponde a formas no obstructivas.¹

El gradiente del TSVI constituye uno de los principales parámetros para evaluar la severidad de la obstrucción y orientar las decisiones terapéuticas en pacientes con MCHo. Así mismo, la fracción de eyección del ventrículo izquierdo (FEVI) es un parámetro clave para la evaluación y seguimiento de estos pacientes. Una FEVI inferior al 50% define la presencia de disfunción sistólica y se asocia con peor pronóstico clínico.



El tratamiento farmacológico de primera línea incluye betabloqueadores (BB) y bloqueadores de los canales de calcio (BCA). Adicionalmente, en pacientes con riesgo elevado de muerte súbita se indica tratamiento con desfibrilador cardioversor implantable (DCI). Sin embargo, el tratamiento farmacológico no siempre logra el control sintomático: se ha estimado que entre el 5-10% de los pacientes son refractarios al tratamiento farmacológico y persisten con síntomas significativos. En estos casos, las guías recomiendan considerar terapias de reducción septal (TRS).^{4,7}

La miectomía quirúrgica y la ablación septal con alcohol (ASA) han demostrado ser una estrategia eficaz para el alivio sintomático, la mejora de la calidad de vida y el incremento de la supervivencia a largo plazo, pero se trata de un procedimiento invasivo no exento de riesgos cuyo resultado óptimo requiere de centros especializados. Un pequeño subgrupo, a menudo asociado a variantes genéticas particulares y/o extensa fibrosis, evoluciona a disfunción sistólica grave con eventual necesidad de trasplante cardíaco.¹

En el contexto local el abordaje diagnóstico de los pacientes con miocardiopatía hipertrófica (MCH) incluye la realización de ecocardiograma y resonancia magnética cardíaca. Una vez descartadas las causas secundarias de hipertrofia ventricular, se solicita el estudio genético para confirmar el diagnóstico y diferenciar etiología sarcomérica de genocopias.

Ante las limitaciones del tratamiento farmacológico convencional y el carácter invasivo de las TRS, han surgido nuevas estrategias dirigidas a los mecanismos fisiopatológicos subyacentes de la enfermedad. Mavacamten es el primer inhibidor selectivo de la miosina cardíaca aprobado para el tratamiento de pacientes adultos con MCHo sintomática de origen sarcomérico.

Consulta recibida

Se realiza el presente informe de Evaluación de la Tecnología Sanitaria (ETS), Mavacamten para el tratamiento de la Miocardiopatía hipertrófica obstructiva sintomática, que es una de las tecnologías priorizadas para evaluación según el informe de resultados de la postulación de tecnologías 2026 ([Plan 2026](#)). En la tabla 1 se detalla la consulta recibida.

Tabla 1: Tecnología sanitaria priorizada por consulta pública.

SOLICITANTE	CONSULTA RECIBIDA	PROBLEMA DE SALUD
Financiador. Obra Social de Empleados Públicos (OSEP).	Incorporación de Mavacamten.	Miocardiopatía Hipertrófica Obstructiva.



2- Tecnología

Mavacamten es un inhibidor selectivo y reversible de la ATPasa de miosina cardíaca que modula la contractilidad miocárdica. Disminuye la formación de puentes cruzados entre actina y miosina al estabilizar la miosina en un estado de súper relajación, reduciendo la hipercontractilidad característica de la miocardiopatía hipertrófica.³

En 2022, la Food and Drug Administration (FDA) aprobó mavacamten para su comercialización, seguida en 2023 por la European Medicines Agency (EMA).^{8,9} En Argentina, la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica (ANMAT), mediante la Disposición N.º 4900/23, otorgó la inscripción de mavacamten en el Registro Nacional de Especialidades Medicinales y, posteriormente, mediante la Disposición N.º DI-2024-5505-APN-ANMAT, autorizó a Bristol Myers Squibb Argentina S.R.L. la comercialización de la especialidad medicinal Camzyos®. Está indicado para el tratamiento de adultos con miocardiopatía hipertrófica obstructiva sintomática de clase funcional II o III según la New York Heart Association (NYHA).^{8,9,10}

Se administra por vía oral una vez al día. No se recomienda el inicio en pacientes con FEVI < 55%. La dosis inicial recomendada es de 5 mg y, mediante un esquema de titulación, puede ajustarse a 2,5; 5; 10 o 15 mg según la respuesta clínica y ecocardiográfica. Debido al riesgo de IC, se requiere una evaluación periódica de la FEVI y del gradiente del TSVI con maniobra de Valsalva para guiar la titulación de la dosis. El tratamiento se debe suspender si la FEVI < 50% cualquier visita o si el paciente presenta síntomas de insuficiencia cardíaca o empeoramiento del estado clínico.¹¹

Su metabolismo es predominantemente hepático, mediado por el CYP2C19 y, en menor medida, por el CYP3A4 y el CYP2C9. Este perfil farmacocinético lo hace susceptible a interacciones con inhibidores e inductores de estas enzimas, lo que puede afectar su concentración plasmática y eficacia. El mavacamten está contraindicado durante el embarazo debido a su mecanismo de acción, que puede afectar el desarrollo cardiovascular fetal, por lo que se recomienda el uso de métodos anticonceptivos eficaces en mujeres en edad fértil durante el tratamiento y hasta al menos cuatro meses después de la suspensión.³

Las reacciones adversas más frecuentes de mavacamten fueron mareos (27%) y síncope (6%). El evento de mayor relevancia clínica es la IC secundaria a disfunción sistólica, manifestada por reducción de la FEVI, generalmente reversible tras la interrupción del tratamiento, lo que requiere monitoreo ecocardiográfico periódico y ajuste de dosis.¹¹

El precio de comercialización de mavacamten (Camzyos®) obtenido por la obra social provincial (OSEP) es: \$ ARS 3.103.254,51 (04/06/2026) para sus cuatro presentaciones.



El precio de comercialización de mavacamten (Camzyos®) es: \$ ARS 4.370.717,33 para sus cuatro presentaciones: 2,5 mg cáps.x 30; 5 mg cáps.x 30; 10 mg cáps.x 30 y 15 mg cáps.x 30. Fuente consultada Alfabeta.net (búsqueda 24/6/2026).¹²

3- Objetivos y preguntas de investigación

Objetivos:

- Evaluar eficacia y seguridad de mavacamten en el tratamiento de la miocardiopatía hipertrófica obstructiva sintomática en adultos.
- Evaluar el impacto en el gasto público de la provincia de Mendoza, el impacto en la salud pública, equidad y posible impacto ambiental de la incorporación de mavacamten en la condición de MCHO sintomática en adultos.

Preguntas de investigación:

- ¿Cuál es la eficacia y seguridad de mavacamten, para el tratamiento de pacientes adultos con diagnóstico de MCHO sintomática?
- ¿Cuál es el impacto presupuestario de la incorporación de mavacamten para el tratamiento de la MCHO en el sistema de salud provincial?
- ¿Cuál es el impacto en la salud pública de la introducción de esta tecnología, considerando la carga de la enfermedad, la equidad en el acceso, las políticas sanitarias locales y el impacto ambiental?

En la tabla 2 se formuló la pregunta de investigación en formato PICO y se realizó la búsqueda bibliográfica controlada.



Tabla 2: Pregunta de investigación en formato PICO y criterios de elección de los estudios.

POBLACIÓN	Personas adultas con miocardiopatía hipertrófica obstructiva sintomática que no responden al tratamiento con beta bloqueantes y/o bloqueadores de los canales de calcio.
INTERVENCIÓN	Mavacamten 2,5 mg a 15 mg/día vía oral asociado a tratamiento estándar.*
COMPARADOR	Tratamiento estándar.
RESULTADOS	Eficacia: Mortalidad por todas las causas; elegibilidad para terapia de reducción septal; cambio en la clase funcional NYHA; calidad de vida; cambio en el gradiente de presión del tracto de salida del ventrículo izquierdo (TSVI) en reposo y post maniobra de Valsalva. Seguridad: Efectos adversos graves, efectos adversos emergentes del tratamiento.
ESTUDIOS	Revisiones sistemáticas, Metaanálisis y Ensayos clínicos aleatorizados. Guías de práctica clínica, informes de ETS.

PICO: población, intervención, comparador y resultados (por outcome del inglés).

*Tratamiento estándar: Beta bloqueantes y bloqueadores de los canales de calcio.

Definición de desenlaces:

- Cambio en la clase funcional: Proporción de pacientes que logran mejorar al menos un nivel en la escala NYHA.¹³
- Elegibilidad para TRS: Decisión de proceder a miectomía quirúrgica o ablación septal con alcohol según criterios de las guías AHA/ACCF 2011: gradiente TSVI ≥ 50 mmHg en reposo o con provocación + síntomas CF III/IV (o CF II con síncope de esfuerzo) a pesar de terapia médica máxima.^{14,15}
- Calidad de vida relacionada con la salud: evaluada mediante el cuestionario Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire (KCCQ). Se consideró para el resultado de calidad de vida una diferencia clínicamente significativa de 4 puntos en el KCCQ-CSS, puntajes más altos indican mejor calidad de vida.^{16,17}
- Cambio en el gradiente de presión del TSVI en reposo y post maniobra de Valsalva: disminución medida mediante ecocardiografía Doppler y expresada en mmHg respecto al valor basal.¹⁴
- Efectos adversos emergentes del tratamiento (EAET): eventos adversos que aparecieron por primera vez o empeoraron en gravedad tras la administración de al menos una dosis del tratamiento del estudio, según la definición empleada en los ensayos incluidos. Entre los eventos evaluados se incluyeron mareos, palpitaciones, fatiga, disnea, náuseas, fibrilación auricular y taquicardia ventricular no sostenida.^{13,15,18}



- Efectos adversos graves (EAG): acontecimientos adversos que resultaron en muerte, pusieron en riesgo la vida, requirieron hospitalización o su prolongación, ocasionaron discapacidad significativa, anomalía congénita o fueron considerados médicamente importantes según el criterio del investigador.¹⁹

Se evaluaron desenlaces según metodología GRADE en críticos e importantes según se describe:

Críticos: Mortalidad por todas las causas, elegibilidad para TRS, calidad de vida, efectos adversos graves.

Importantes: Cambio en la clase funcional NYHA, cambio en el gradiente de presión del TSVI en reposo y post maniobra de Valsalva, efectos adversos emergentes del tratamiento.

4- Metodología

Se realizó una búsqueda bibliográfica genérica en las bases de datos de agencias de evaluación de tecnologías sanitarias (ETS). Se identificó un informe de respuesta rápida de evaluación de tecnologías sanitarias del Instituto de Efectividad Clínica y Sanitaria (IECS) sobre mavacamten en miocardiopatía hipertrófica obstructiva (marzo 2025). Para valorar su pertinencia de adaptación, se utilizó la Herramienta para la Adaptación de Informes de Evaluación de Tecnologías Sanitarias de la Organización Panamericana de la Salud (OPS/RedETSA, 2024).²⁰ Tras su aplicación, se decidió realizar una adaptación del informe.

Se realizó una actualización de la búsqueda bibliográfica del informe elaborado por el IECS. Para la búsqueda en PubMed se replicó la estrategia original completa, mientras que en las restantes bases de datos se adaptó la estrategia de búsqueda de acuerdo con los requerimientos específicos de cada base de datos, utilizando términos equivalentes relacionados con miocardiopatía hipertrófica y mavacamten. La búsqueda se realizó desde la fecha de cierre de la estrategia original hasta el 26 de mayo de 2026 en PubMed, Epistemonikos, Cochrane Library, LILACS y ClinicalTrials.gov.

Adicionalmente, se realizó una búsqueda complementaria en bases de datos y repositorios especializados en evaluaciones económicas con el objetivo de identificar estudios de costo-efectividad, costo-utilidad e impacto presupuestario; guías de práctica clínica e informes de evaluación de tecnologías sanitarias (ETS) para actualizar la evidencia del informe original del IECS. Se revisaron bases de datos BRISA, INAHTA. Se consultaron fuentes de agencias internacionales (National Institute for Health and Care Excellence- NICE, Canadian Drugs Agency- CDA , Comisión Nacional de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Excelencia Clínica- CONETEC-Argentina, Instituto de Eficiencia Clínica y Sanitaria- IECS-Argentina, Comisión Nacional de Incorporación de Tecnologías- CONITEC-Brasil) y fuentes regulatorias (Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica- ANMAT, Food and Drug Administration-FDA, European Medicines Agency- EMA).



Los registros identificados fueron importados a la plataforma Rayyan para la depuración de duplicados y la posterior selección de estudios.

Asimismo, se llevó a cabo una consulta a expertos locales y a la Sociedad Argentina de Cardiología respecto a las características de la patología, utilización e indicación de mavacamten, complementada con una búsqueda orientada a identificar documentos sobre la práctica real local, así como aspectos de salud pública, equidad e impacto ambiental.

Para la valoración crítica de los estudios incluidos y la determinación del nivel de certeza de la evidencia para cada uno de los desenlaces considerados (críticos e importantes), se utilizó la metodología GRADE (*Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation*) a través de la herramienta interactiva *GRADEpro GDT*.

Finalmente, se realizó un análisis de impacto presupuestario (AIP) estimando los costos asociados al tratamiento y se evaluó su potencial impacto en la salud pública, incluyendo aspectos relacionados con la equidad y el impacto ambiental, mediante la herramienta AETSalud–Dominio de Salud Pública (Anexo II).

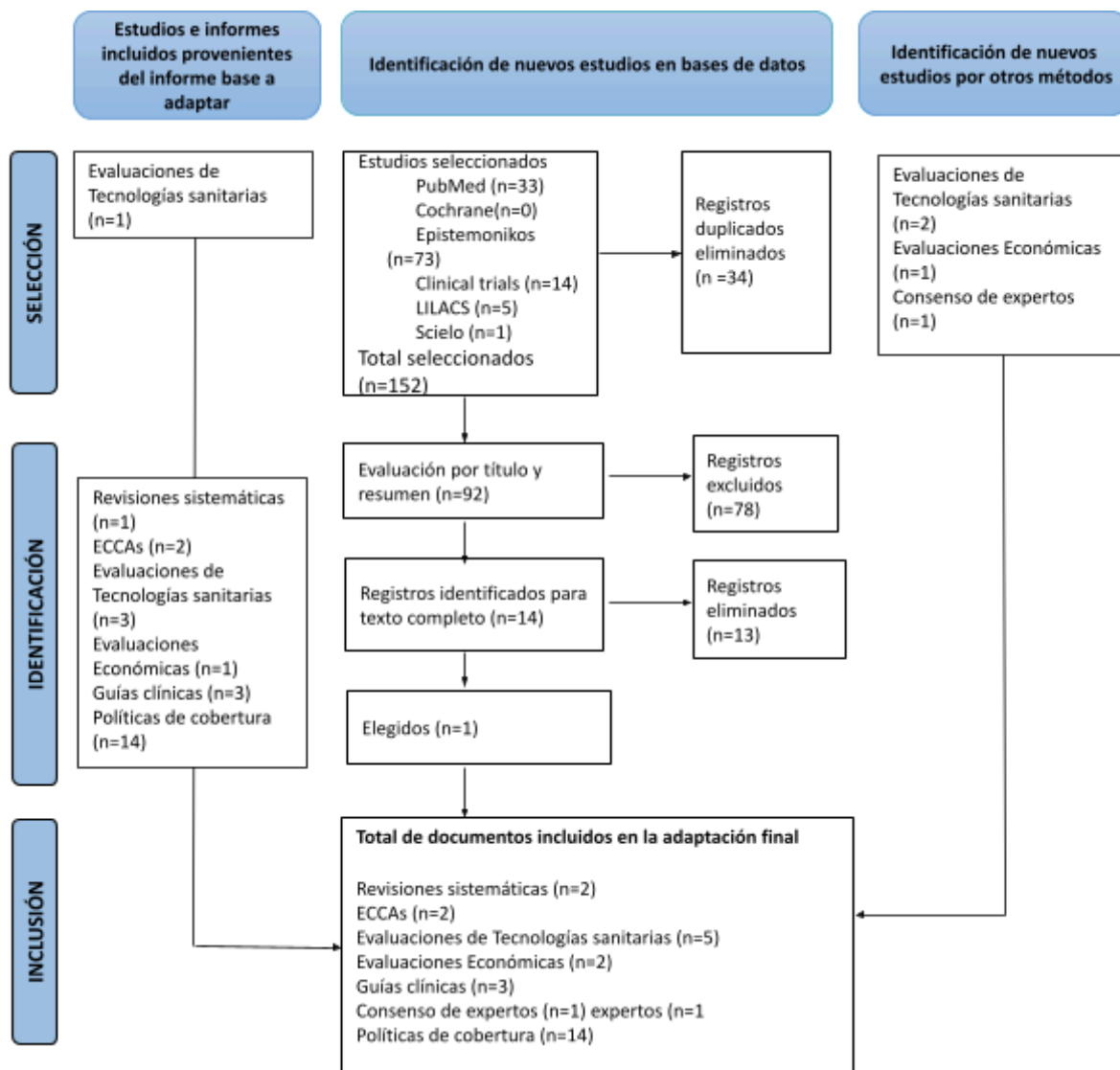
5- Resultados

5.1- Búsqueda bibliográfica

Se identificó un informe de ETS de IECS del año 2025 a partir del cual se realiza este informe de ETS adaptado. Luego de la actualización de la búsqueda bibliográfica se incluyeron: 1 (una) revisión sistemática, 2 (dos) informes de evaluación de tecnologías sanitarias (ETS), 1 (una) evaluación económica (EE) y 1 (uno) consenso de expertos. La figura 1 muestra el flujograma de los estudios seleccionados.



Figura 1: Flujograma de selección de estudios.



5.2- Efectos para la salud: eficacia y seguridad

Para el desenlace mortalidad por todas las causas no se identificaron ensayos clínicos controlados aleatorizados (ECCA); se utilizó un estudio observacional retrospectivo.

Para el desenlace de elegibilidad para TRS, se seleccionó el metaanálisis de Yacoub y col.²¹ Para evaluar el cambio en la clase funcional y el cambio en el gradiente de presión del TSVI en reposo y post-maniobra de Valsalva, se utilizó la revisión sistemática de Felix, N. y col.²² Finalmente, para los resultados de calidad de vida, efectos adversos emergentes del tratamiento y efectos adversos graves, se realizó un metaanálisis propio a partir de los ECCAs identificados en la revisión de Yacoub y col. que cumplieran con los criterios de selección de la población de este informe. Tabla 3.

Tabla 3: Resumen de estudios seleccionados.

Estudio	Criterios de inclusión - población	Intervención y comparador	Desenlaces	Observaciones
Yacoub y col. 2023. ²¹ DOI: 10.1007/s10741-023-10375-6	RS y MA. (4 ECCA) N=503 Miocardiopatía Hipertrófica (MCH).	Mavacamten (n=273). Placebo (n=230).	<u>Elegibilidad para TRS:</u> Mavacamten: 20,11%. Placebo: 69,02%.	Heterogeneidad en el seguimiento, clase funcional y definición del desenlace en los estudios incluidos para el resultado.
Felix, N y col. 2024. ²² DOI: 10.1007/s40256-024-00710-z	RS y MA (5 ECCA) N=767 Adultos con MCHO.	Mavacamten (n=233). Aficamten (n= 170). Placebo (n= 364).	<u>Cambio en la clase funcional:</u> Mavacamten: 63,09%. Placebo: 26,54%. <u>Cambio en el TSVI post maniobra de Valsalva</u> (DM, IC 95%). Mavacamten vs placebo: -46,09 (-60,54 a -31,65). <u>Cambio en el TSVI en reposo</u> (DM, IC 95%). Mavacamten vs placebo: -43,92 (-63,93 a -23,90).	Para el análisis se utilizaron únicamente los datos correspondientes a mavacamten. Elevada Heterogeneidad para ambos desenlaces I ² : 75% (post Valsalva) y 79 % (en reposo).
Olivotto, I y col. 2020. ¹³ (EXPLORE R HCM) DOI: 10.1016/S0140-6736(20)31792-X	ECCA Fase III N=251 Adultos con MCHO. Clase II - III NYHA. 30 semanas de seguimiento.	Mavacamten (n=123). Placebo (n=128).	<u>Calidad de vida</u> (KCCQ) DM (IC 95%) Mavacamten vs placebo: 9,40 (5,92 a 12,88). <u>Efectos adversos emergentes del tratamiento:</u> Mavacamten: 87,80%. Placebo: 78,90%. <u>Efectos adversos graves:</u> Mavacamten: 3,25%. Placebo: 3,12%.	Los pacientes pudieron continuar con el tratamiento estándar excepto Disopiramida. Baja representación de pacientes menores de 50 años y de raza no blanca.
Desai, M y col. 2022. ¹⁵ (VALOR HCM) DOI: 10.1016/j.jacc.2022.04.048	ECCA Fase III N= 112 Adultos con MCHO. Clase III-IV NYHA. 16 semanas de seguimiento.	Mavacamten (n=52). Placebo (n=56).	<u>Calidad de vida</u> (KCCQ) DM (IC 95%) Mavacamten vs placebo: 9,20 (6,72 a 11,68). <u>Efectos adversos emergentes del tratamiento</u> (EAET): Mavacamten: 73,21%. Placebo: 61,81%. <u>Efectos adversos graves:</u> Mavacamten: 7,14%. Placebo: 1,81%.	Permitió el uso de disopiramida en el tratamiento estándar. A partir de la semana 16 todos continuaron con mavacamten en fase abierta.
Tian, Z y col. 2023. ¹⁸ (EXPLORE R CN) DOI: 10.1001/jamacardio.2023.3030	ECCA Fase III N= 81 Adultos con MCHO. Clase II - III NYHA. 30 semanas de seguimiento.	Mavacamten (n=54). Placebo (n=27).	<u>Calidad de vida</u> (KCCQ) DM (IC 95%) Mavacamten vs placebo: 10,24 (3,51 a 16,97). <u>Efectos adversos emergentes del tratamiento</u> (EAET): Mavacamten: 83,3%. Placebo: 88,8%. <u>Efectos adversos graves:</u> Mavacamten: 7,40%. Placebo: 0%.	Población exclusivamente china con mayor prevalencia de metabolizadores lentos de CYP2C19 y menor IMC respecto a los ensayos globales.



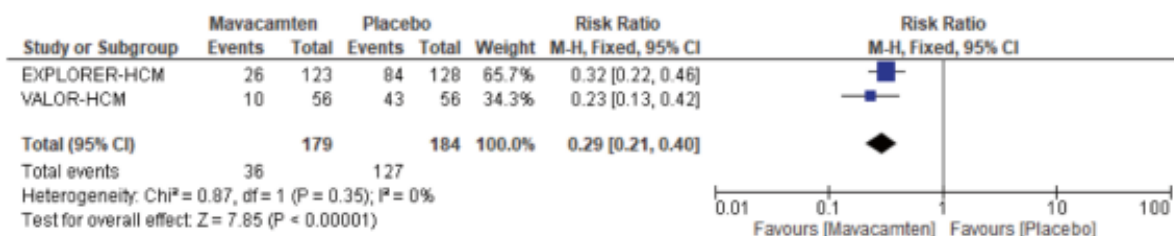
5.2.1- Mortalidad por todas las causas

Patel y col. (2025) evaluaron los resultados cardiovasculares de mavacamten en una cohorte retrospectiva de 12.784 pacientes con MCHO de la red TriNetX, con una mediana de seguimiento de 19 meses. Se registró una mortalidad en el 0,9% del grupo mavacamten (n=550) frente al 3,2% (n=12.234) del grupo de manejo médico estándar (HR: 0,51; IC 95%: 0,28–0,93).²³ Dado el diseño observacional, el bajo número de eventos de muerte en el grupo tratado (n=5) y la ausencia de un análisis independiente para este desenlace, es probable que la certeza de la evidencia hubiera sido considerada muy baja.

5.2.2- Elegibilidad para la terapia de reducción septal

El metaanálisis de Yacoub y col. observó que mavacamten redujo significativamente la proporción de pacientes elegibles para TRS en comparación con placebo RR=0,29 (IC 95%: 0,21 - 0,40) (Figura 2). En términos absolutos esto equivale a que por cada 1.000 pacientes 490 menos serían elegibles para TRS.²¹ La calidad de la evidencia fue considerada moderada, debido a evidencia indirecta por las diferencias entre los estudios en la duración del seguimiento y en la definición del desenlace. Tabla 4.

Figura 2: Forest plot elegibilidad para TRS. Mavacamten versus terapia estándar (Yacoub y col.).



Fuente: Yacoub y col.

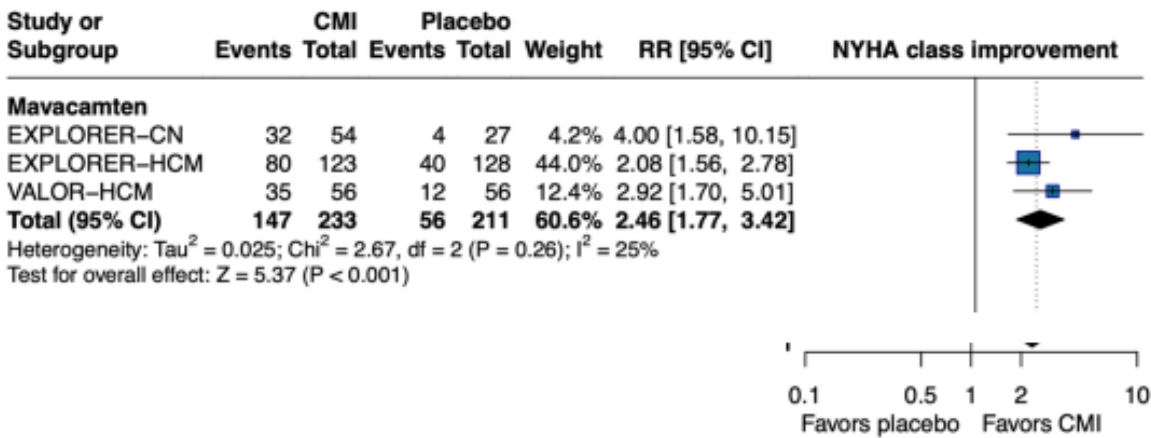
5.2.3- Cambio en la clase funcional NYHA.

El metaanálisis de Felix y col. menciona que mavacamten aumenta la proporción de pacientes que mejoraron al menos una clase funcional de la New York Heart Association (NYHA) en comparación con placebo RR=2,46 (IC 95%: 1,77–3,42).²² (Figura 3). En términos absolutos esto equivale a que por cada 1.000 pacientes 387 más mejoran la clase funcional. La calidad de la evidencia fue considerada alta para este desenlace. Tabla 4.

En el análisis acumulado de la extensión a largo plazo de EXPLORER-HCM (MAVA-LTE), el 77,9% de los pacientes mantuvo una mejoría de al menos una clase funcional NYHA hasta la semana 180 de seguimiento.²⁴ En el reporte final de VALOR-HCM a la semana 128, el 80,5% de los pacientes (87/108) presentó una mejoría de al menos una clase NYHA, incluyendo un 48,1% (52/108) que mejoró en al menos dos clases.²⁵



Figura 3: Forest plot Cambio en la clase funcional NYHA. Mavacamten versus terapia estándar (Felix y col.).

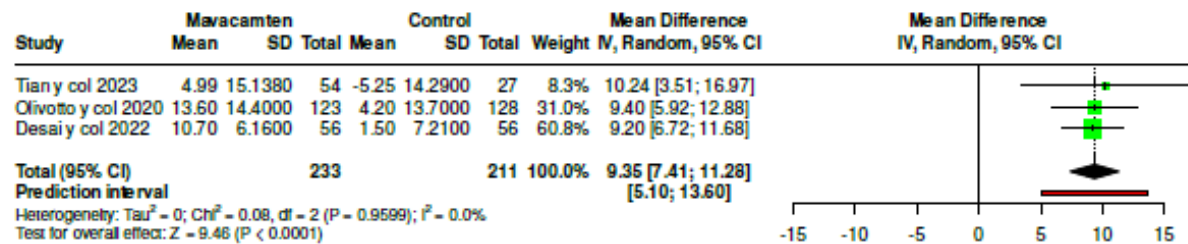


CMI: inhibidor de la miosina cardíaca (*cardiac myosin inhibitor*; corresponde a mavacamten en este estudio).
Fuente: Felix y col.

5.2.4 Calidad de vida relacionada con la salud.

El uso de mavacamten mejora la calidad de vida en comparación con el grupo control, registrando una diferencia de medias (DM) de 9,36 puntos (IC 95%: 7,41 a 11,28) (Figura 4). Este incremento supera el umbral de significancia clínica establecido en un aumento de al menos 4 puntos en la puntuación de estado clínico del cuestionario KCCQ (KCCQ-CSS). La certeza de la evidencia para este desenlace fue calificada como alta. Tabla 4.

Figura 4: Forest plot calidad de vida (KCCQ). Mavacamten versus terapia estándar.



Fuente: elaboración propia.

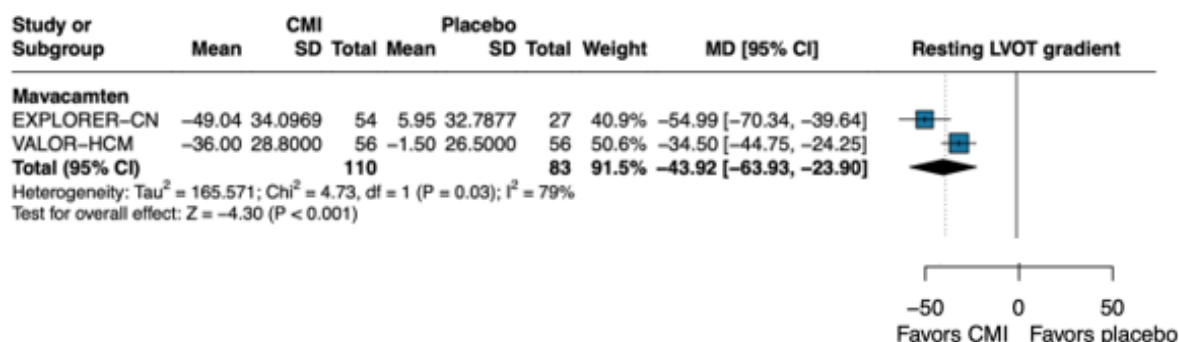
5.2.5 Cambio en el gradiente de de presión del TSVI en reposo y post maniobra de Valsalva.

En el metaanálisis de Felix y col., el análisis de mavacamten mostró una reducción del gradiente en reposo de -43,92 mmHg (IC 95%: -63,93 a -23,90; $I^2=79\%$) y una reducción del gradiente provocado post-maniobra de Valsalva de -46,09 mmHg (IC 95%: -60,54 a -31,65; $I^2=75\%$) (Figuras 5 y 6).²² La calidad de la evidencia se consideró moderada debido a la



elevada heterogeneidad consecuencia de las características basales de los pacientes incluidos en EXPLORER-CN, EXPLORER-HCM y VALOR-HCM. Tabla 4.

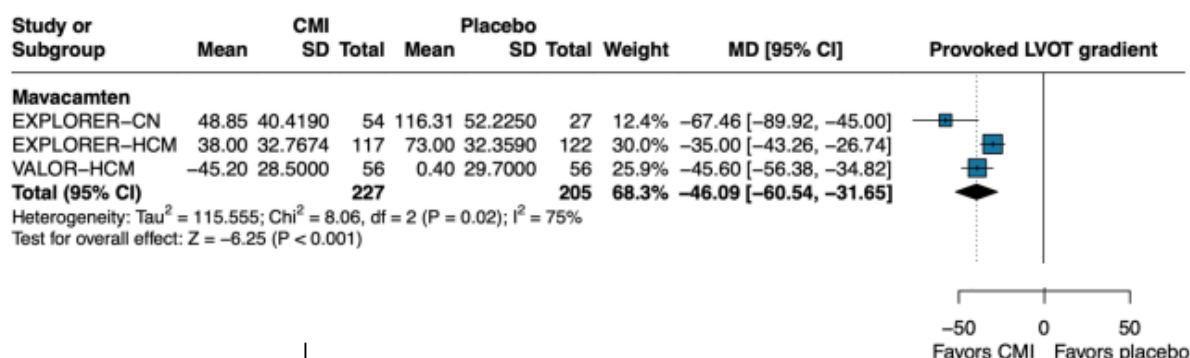
Figura 5: Forest plot Cambio en el gradiente de de presión del TSVI en reposo. Mavacamten versus terapia estándar. (Felix y col.)



CMI: inhibidor de la miosina cardíaca (*cardiac myosin inhibitor*; corresponde a mavacamten en este estudio).

Fuente: Felix y col.

Figura 6: Forest plot Cambio en el gradiente de de presión del TSVI post maniobra de Valsalva. Mavacamten versus terapia estándar. (Felix y col.)



CMI: inhibidor de la miosina cardíaca (*cardiac myosin inhibitor*; corresponde a mavacamten en este estudio).

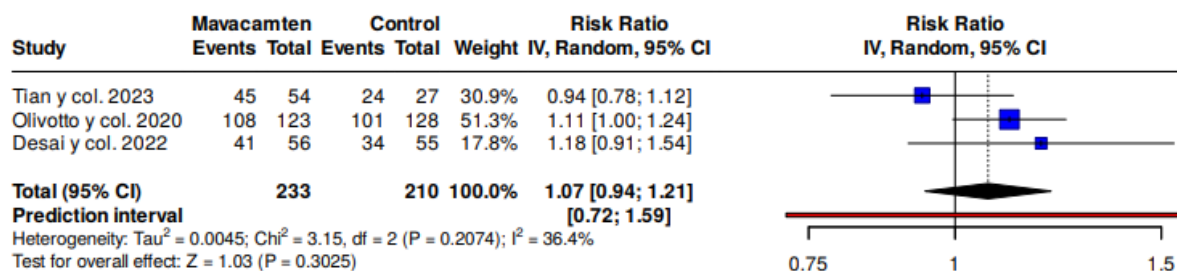
Fuente: Felix y col.

5.2.6 Efectos adversos emergentes del tratamiento.

Mavacamten probablemente resulte en un leve incremento en efectos adversos emergentes del tratamiento $RR=1,07$ (IC 95%: 0,94 a 1,21) (Figura 7). En términos absolutos esto equivale a 53 más con al menos un EAET por cada 1.000 tratados con mavacamten. La calidad de la evidencia se calificó moderada por imprecisión debido a que el resultado incluyó la medida del no efecto dentro de su intervalo de confianza. Tabla 4.

Figura 7: Forest plot EAET. Mavacamten versus terapia estándar.



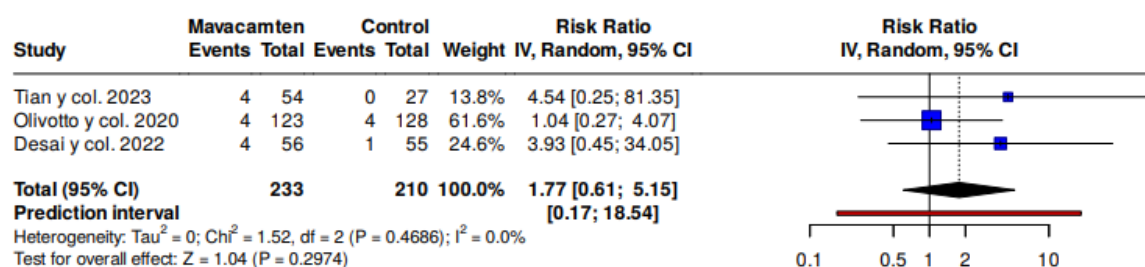


Fuente: elaboración propia.

5.2.6 Efectos adversos graves:

Mavacamten no incrementaría los efectos adversos graves, $RR=1,77$ (IC 95%: 0,61 a 5,15) (Figura 8). En términos absolutos esto representa a 18 más con al menos un EAG por cada 1.000 tratados con mavacamten. La calidad de la evidencia se calificó baja por imprecisión debido a que el resultado incluyó la medida del no efecto con un amplio intervalo de confianza. Tabla 4.

Figura 8: Forest plot EAG. Mavacamten versus terapia estándar.



Fuente: elaboración propia.

En el Anexo I se detalla el perfil de evidencia.

Tabla 4: Resumen de hallazgos de mavacamten vs terapia estándar en MCHo (GRADE).

Resumen de hallazgos de Mavacamten vs Terapia estándar en MCHo							
Resultado y seguimiento	Pacientes (estudios), N	Efecto relativo (95% CI)	Efectos absolutos (95% CI)			Certeza	Qué pasa
			Terapia estándar	Mavacamten	Diferencia		
Elegibilidad para terapia de reducción septal seguimiento: rango 16 semanas a 30 semanas	363 (2 ECAs)	RR = 0.29 (0.21 a 0.40)	690 por 1000	200 por 1000 (145 a 276)	490 menos por 1000 (de 545 menos a 414 menos)	⊕⊕⊕⊖ Moderado ^a	Mavacamten es probable que resulte en una reducción en la elegibilidad para terapia de reducción septal.
Calidad de vida seguimiento: rango 16 semanas a 30 semanas	444 (3 ECAs)	-	0	-	9.35 (7.41 a 11.28)	⊕⊕⊕⊕ Alta	Mavacamten da como resultado una mejora en la calidad de vida.
Efectos adversos graves seguimiento: rango 16 semanas a 30 semanas	443 (3 ECAs)	RR = 1.77 (0.61 a 5.15)	24 por 1000	42 por 1000 (15 a 123)	18 más por 1000 (de 9 menos a 99 más)	⊕⊕⊖⊖ Baja ^b	Mavacamten podría no incrementar efectos adversos graves.
Cambio en la clase funcional NYHA seguimiento: rango 16 semanas a 30 semanas	444 (3 ECAs)	RR = 2.46 (1.77 a 3.42)	265 por 1000	653 por 1000 (470 a 908)	387 más por 1000 (de 204 más a 642 más)	⊕⊕⊕⊕ Alta	Mavacamten da como resultado un incremento en cambio en la clase funcional NYHA.
Cambio en el gradiente de presión del TSVI en reposo. seguimiento: rango 16 semanas a 30 semanas	193 (2 ECAs)	-	0	-	-43.92 (-63.93 a -23.9)	⊕⊕⊕⊖ Moderado ^c	Mavacamten es probable que resulte en una reducción en el gradiente de presión del TSVI en reposo.
Cambio en el gradiente de presión del TSVI post maniobra de Valsalva seguimiento: rango 16 semanas a 30 semanas	432 (3 ECAs)	-	0	-	-46.09 (-60.54 a -31.65)	⊕⊕⊕⊖ Moderado ^d	Mavacamten es probable que resulte en una reducción en el gradiente de presión del TSVI post maniobra de Valsalva.
Efectos adversos emergentes del tratamiento seguimiento: rango 16 semanas a 30 semanas	443 (3 ECAs)	RR = 1.07 (0.94 a 1.21)	757 por 1000	810 por 1000 (712 a 916)	53 más por 1000 (de 45 menos a 159 más)	⊕⊕⊕⊖ Moderado ^e	Mavacamten probablemente resulte en un leve incremento en efectos adversos emergentes del tratamiento.

CI: Intervalo de confianza; MD: Diferencia media; RR: Razón de riesgo.



- a. Heterogeneidad en la definición del desenlace, clase funcional NYHA y duración de seguimiento.
- b. Amplio intervalo de confianza e incluye la medida del no efecto.
- c. Heterogeneidad: 79 % por diferencias en las características basales de los pacientes.
- d. Heterogeneidad: 75% por diferencia en las características basales de los pacientes.
- e. El intervalo de confianza incluye la medida del no efecto.

El efecto en la salud de mavacamten en MCHo sintomática se valora como **considerable**.

5.3- Otros informes de ETS

El informe usado como base para la adaptación identificó que las evaluaciones internacionales disponibles sobre mavacamten presentaron conclusiones dispares. El NICE del Reino Unido (2023) recomendó mavacamten como segunda línea en adultos con MCHo sintomática (NYHA II-III) añadida al tratamiento estándar. El organismo reconoció su eficacia clínica para mejorar los síntomas y la capacidad de ejercicio, así como su potencial para reducir o retrasar la necesidad de procedimientos invasivos (como la miectomía quirúrgica o la ablación septal con alcohol). En contraste el NCPE irlandés no recomendó su financiamiento público, señalando incertidumbre sobre la eficacia y seguridad a largo plazo y una relación costo-efectividad desfavorable.⁶

El PBAC australiano inicialmente no recomendó la financiación pública de mavacamten en 2022 y julio de 2023 debido a incertidumbres clínicas y económicas; sin embargo, en la actualización de la búsqueda realizada, se encontró que cambió la recomendación hacia su inclusión en el PBS tras una nueva evaluación que incorporó un precio reducido, con criterios de acceso más restrictivos y un acuerdo de riesgo compartido.^{26,27}

La búsqueda realizada para el presente informe identificó adicionalmente las siguientes evaluaciones:

La Agency for Care Effectiveness (ACE) de Singapur recomendó en 2025 el financiamiento público de mavacamten en adultos con MCHo sintomática (NYHA II-III) que permanecen sintomáticos pese al tratamiento estándar, restringiendo la indicación a pacientes con gradiente del tracto de salida del ventrículo izquierdo ≥ 50 mmHg y fracción de eyección $\geq 55\%$. La continuación del tratamiento requiere demostrar respuesta tras recibir la dosis óptima durante al menos 4-6 meses, definida como mejoría en al menos uno de los siguientes parámetros: clase funcional NYHA, capacidad de ejercicio o gradiente máximo del tracto de salida del ventrículo izquierdo.²⁸

El Comité de Transparencia de la Haute Autorité de Santé (HAS) de Francia emitió opinión favorable para la inclusión de mavacamten en la cobertura pública como tratamiento de segunda línea de la MCHo sintomática (NYHA II-III) en adultos con terapia estándar, asignándole valor agregado clínico moderado (CAV III). El Comité reconoció una necesidad médica parcialmente insatisfecha en esta población, dado que las alternativas disponibles



—betabloqueantes, calcioantagonistas, disopiramida y TRS— resultan ineficaces o mal toleradas en un subgrupo significativo de pacientes. Se rechazó la financiación para las restantes indicaciones de la autorización de comercialización, con una tasa de reembolso recomendada del 65%.²⁹

Desde la perspectiva económica, el informe usado como base para la adaptación menciona que la Agencia CDA canadiense (2023) estimó una razón de costo efectividad incremental (RCEI) de CAD \$576.295/AVAC, requiriéndose una reducción de precio del 73% para alcanzar el umbral de \$50.000/AVAC; el Instituto ICER estadounidense (2021) concluyó de manera similar que el costo incremental por años de vida ajustado por calidad (AVAC) supera ampliamente los umbrales estándar; todas las evaluaciones económicas disponibles —realizadas en países de altos ingresos— ubican a mavacamten por encima de los umbrales habituales de disposición a pagar. Finalmente destacan que no se identificaron estudios económicos en Argentina ni en la región.⁶

5.4- Guías de práctica clínica y políticas de cobertura

El documento base de la adaptación mencionó las recomendaciones para el tratamiento farmacológico de la guía de la Sociedad Europea de Cardiología 2023: asociar inhibidores de la miosina al tratamiento de base con BB o BCA como tratamiento de segunda línea cuando el tratamiento médico óptimo con betabloqueantes, antagonistas del calcio es ineficaz o mal tolerado(Clase de recomendación IIa, nivel de evidencia A) y en aquellos pacientes que tienen contraindicado los BB o BCA recomiendan utilizar mavacamten como monoterapia (Clase de recomendación IIa, nivel de evidencia B) ; y de la guía de AHA/ACC/AMSSM/HRS/PACES/SCMR de 2024 para el manejo de la miocardiopatía hipertrófica, donde recomiendan considerar la adición de inhibidores de la miosina, solo en adultos, o la TRS en centros especializados en pacientes persistentemente sintomáticos a pesar del tratamiento a pesar del tratamiento con BB o BCA (Clase de recomendación I y nivel de evidencia B-R).^{2,6,30}

La Sociedad Argentina de Cardiología en su Consenso Argentino de Diagnóstico y Tratamiento de la Miocardiopatía Hipertrófica del año 2025 (publicadas en enero 2026 posterior al informe base) refuerza las recomendaciones de tratamiento farmacológico de las guías europeas y americanas y agrega que si no se verifica costo-efectividad o el acceso está restringido, se sugiere iniciar con BB o BCA y, ante respuesta insuficiente, reevaluar alternativas y recomienda establecer criterios de suspensión si a las 36-48 semanas no se constata una respuesta clínica o hemodinámica significativa (mejoría de al menos una clase funcional NYHA, reducción del gradiente con Valsalva ≥ 30 mmHg o gradiente final < 30 mmHg, o descenso de NT-proBNP), se indica la discontinuación y se debe reevaluar la indicación de TRS u opciones convencionales. En todo momento debe asegurarse una FEVI $\geq 50\%$. El tratamiento invasivo (TRS), se indica cuando hay un gradiente del TSVI ≥ 50 mmHg, síntomas graves (clase funcional III-IV de la NYHA o síncope recurrente de esfuerzo o



inexplicable, a pesar del tratamiento farmacológico máximo tolerado. La terapia invasiva también puede considerarse en pacientes con síntomas leves (clase II de la NYHA) refractarios al tratamiento médico.¹

El informe fuente relevó las siguientes políticas de cobertura internacionales. En América Latina, los sistemas de salud de Brasil, Chile, Colombia, México y Uruguay no especifican cobertura para mavacamten en la indicación evaluada. En Estados Unidos, el financiador público de Servicios Medicare y Medicaid (CMS por su sigla en inglés Centers for Medicare & Medicaid Services) brinda cobertura limitada a algunos planes privados, mientras que algunos financiadores privados otorgan cobertura bajo criterios específicos de elegibilidad. Alemania, Canadá, Francia y el Reino Unido brindan cobertura a través de sus respectivos sistemas públicos.⁶

Con respecto a Australia, el informe fuente registraba una recomendación negativa del Comité Asesor de Beneficios Farmacéuticos (PBAC) correspondiente a la evaluación de 2022. Sin embargo, en la actualización de la búsqueda realizada, cambió la recomendación hacia la incorporación en noviembre de 2023. Al momento de elaboración del presente informe, Australia brinda cobertura pública para esta tecnología.²⁷

5.5- Impacto sobre el gasto público

Se elaboró un análisis de impacto presupuestario (AIP) sobre la incorporación de mavacamten más tratamiento estándar versus tratamiento estándar en miocardiopatía hipertrófica obstructiva, desde la perspectiva del financiador de salud. En el modelo se analiza la población objeto, el costo monetario del tratamiento (adquisición de medicamentos y monitoreo) y la participación de mercado, con un horizonte temporal de 3 años.

5.5.1- Estimación de la población objeto

Para la estimación de la población objeto se consideraron la prevalencia y la mortalidad asociadas a la MCH. Sin embargo, no se identificaron datos específicos de incidencia para esta condición. La prevalencia de la MCH y la MCHo se obtuvo a partir del Consenso de la Sociedad Argentina de Cardiología¹, mientras que la proporción de pacientes con la forma sintomática se estimó utilizando los datos reportados por la Sociedad Española de Cardiología⁷. Estas estimaciones se aplicaron a las proyecciones poblacionales de la provincia de Mendoza elaboradas por el Instituto Nacional de Estadística y Censos (INDEC).³¹

Para identificar a la población con FEVI > 55% (forma preservada), condición necesaria para la aplicación de la tecnología, se asumió que el 46% de los pacientes candidatos pertenecían a esta categoría, de acuerdo con las estimaciones del estudio de Chen y col. (2024).³²



La mortalidad por MCH se estimó a partir del estudio de Maurizi y col. (2023).³³ No se pudieron encontrar datos de las defunciones por la forma obstructiva.

Finalmente, sobre la población resultante se estimó la proporción de individuos con cobertura exclusiva del subsector público de salud, utilizando las estimaciones provenientes de la Encuesta de Condiciones de Vida (ECV) de la Dirección de Estadísticas e Investigaciones Económicas (DEIE) para la provincia de Mendoza.³⁴

En la tabla 5 se muestra la población estimada.

Tabla 5: Estimación de la población objeto de pacientes con MCHo sintomáticos con FEVI > 55% candidatos a recibir tratamiento con mavacamten en la provincia de Mendoza.

Variable	Valor	2026	2027	2028	Fuente
Población Mendoza	-	2.051.912	2.056.323	2.060.449	INDEC 2022
Población mayor de 18 años	-	1.467.122	1.485.932	1.505.513	INDEC 2022
Prevalencia MCH	1/500 habitantes	2.934	2.972	3.011	SAC 2025
Mortalidad	1,3%	38	39	39	Maurizi 2023
Población estimada	-	2.896	2.933	2.972	-
MCH obstructiva	70%	2.027	2.053	2.080	SAC 2025
Sintomáticos	5-10%*	152	154	156	SEC 2001
FEVI > 55%	46%	70	71	72	Chen 2024
Con cobertura estatal	43,3%	30	31	31	DEIE-ECV 2024

*Se calculó en base al promedio del rango. Posteriormente, en el análisis de sensibilidad se evalúan escenarios adicionales utilizando los valores máximos y mínimos.

Para la estimación de las cuotas de mercado no se identificaron datos específicos sobre la utilización de mavacamten en Argentina. Como escenario base, se asumió una incorporación progresiva de la tecnología con una difusión proporcional distribuida a lo largo del horizonte temporal de análisis.

Bajo este supuesto, se estimó que mavacamten alcanzaría una participación del 20% de la población elegible durante el primer año, del 30% en el segundo año y del 40% en el tercer año. La adopción de la tecnología no implica el reemplazo completo del tratamiento habitual dado que los pacientes continúan recibiendo terapias de base, incluyendo el uso de betabloqueantes y bloqueadores de los canales de calcio. Por lo tanto, estos medicamentos



se consideraron como terapias concomitantes durante todo el horizonte temporal del análisis. Tabla 6.

Tabla 6: Cuota de mercado y población objeto estimada.

Población	2026	2027	2028
Personas elegibles	30	31	31
Cuotas de mercado	20%	30%	40%
Personas tratadas con la tecnología	6	9	12

5.5.2- Estimación del costo del tratamiento

Para estimar los costos sin la tecnología (tratamiento estándar solo) se consideraron los medicamentos de uso actual en la provincia de Mendoza que está integrado por atenolol, bisoprolol, metoprolol como betabloqueante; verapamilo y diltiazem como indicación de bloqueante cálcico.

Para las cantidades requeridas se tomaron las dosis diarias definidas tomadas del Índice DDD de la OMS. Luego se multiplicaron por la frecuencia diaria de administración y por 365 días al año para obtener el costo anual. Los precios de cada fármaco se obtuvieron de Alfabet, calculando posteriormente el precio de salida de laboratorio (PSL) con un descuento del 43% sobre el precio de venta al público (PVP).

Para mavacamten, se tomó la dosis promedio de mantenimiento de 5 mg/día de su prospecto. Su precio fue obtenido de la obra social provincial (OSEP) del cual resultó un 29% de descuento sobre el PVP, precio obtenido en base a una negociación entre partes.

En la tabla 7 se muestran las dosis requeridas de los medicamentos y sus costos anuales de adquisición en pesos argentinos (ARS).



Tabla 7: Dosis requeridas y costos anuales de los medicamentos por paciente.

Medicamento	Dosis requerida	Costo anual (ARS)
Atenolol	75 mg/día	\$ 63.515,38
Bisoprolol	10 mg/día	\$ 220.028,79
Metoprolol	150 mg/día	\$ 613.233,43
Verapamilo	240 mg/día	\$ 698.745,69
Diltiazem	240 mg/día	\$ 300.821,52
Mavacamten	5 mg/día	\$ 36.183.085,57

Para abordar el análisis se consideró la alternativa menos costosa entre el grupo de betabloqueantes y los bloqueantes cálcicos.

En términos de uso, los medicamentos analizados no implican costos de administración por su forma de administración oral.

En cuanto a los costos de monitoreo, se consideraron los estudios de seguimiento descritos en el prospecto y en el Consenso de la Sociedad Argentina de Cardiología; y los costos se estimaron a partir de los precios expuestos en el nomenclador provincial vigente.³⁵ Tabla 8.

Tabla 8: Costos de monitoreo por año por paciente.

TME	Monitoreo	2026	2027	2028
Tratamiento estándar	Ecocardiograma cada 3 meses	\$ 353.600	\$ 353.600	\$ 353.600
Mavacamten	4 ecocardiogramas transtoracicos a las 12 semanas y luego una cada 6 meses	\$ 442.000	\$ 176.800	\$ 176.800

Los pacientes tratados con mavacamten requieren un seguimiento ecocardiográfico más estrecho, especialmente durante la fase de titulación de la dosis, debido al riesgo de disminución excesiva de la FEVI.

Para calcular el costo con mavacamten y sin esta tecnología se sumaron el costo de adquisición y de monitoreo, de acuerdo a lo descripto a las tablas anteriores. De esta forma se calculó el costo por año de ambos escenarios y se estimó el impacto presupuestario. Tabla 9.



Tabla 9: Estimación del impacto presupuestario anual de incorporar mavacamten expresado en pesos argentinos.

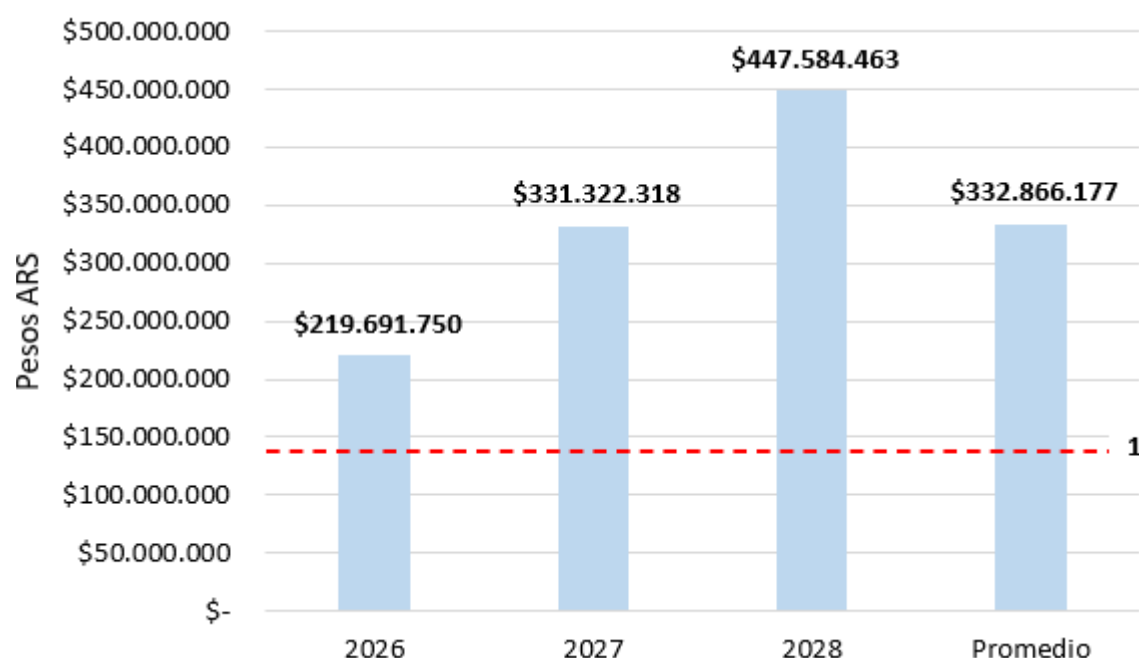
Costos	2026 (N=30)*	2027 (N=31)*	2028 (N=31)*
Costos sin la tecnología	\$ 21.742.260	\$22.021.018	\$ 22.311.202
Costos con la tecnología	\$ 241.434.010	\$353.343.336	\$ 469.895.665
Impacto presupuestario neto	\$ 219.691.750	\$331.322.318	\$ 447.584.463

*La población tratada con la tecnología es la que corresponde a la tabla 6 (n= 6; n= 9; n= 12 para 2026, 2027 y 2028, respectivamente).

5.5.3- Estimación del impacto presupuestario

En la figura 9 se observa el impacto presupuestario neto anual en pesos argentinos para la incorporación de la tecnología.

Figura 9: Estimación del impacto presupuestario anual de incorporar mavacamten para pacientes con MCHO sintomáticos con FEVI > 55% expresado en pesos argentinos.



*1: Umbral de alto impacto presupuestario (\$ ARS 139.597.061).

Según los datos estimados, se requiere afrontar un gasto incremental de \$ ARS 219.691.750 por adoptar mavacamten en el primer año. Este valor resultaría, según el umbral de alto



impacto presupuestario estimado para el subsistema público provincial de Mendoza y OSEP (obra social provincial) de \$ ARS 139.597.061, de **alto impacto** en el gasto público.

Consideraciones de costo-oportunidad

La incorporación de mavacamten podría generar un costo de oportunidad asociado a la utilización de recursos sanitarios limitados. Los recursos destinados a financiar esta tecnología podrían emplearse alternativamente en otras intervenciones para pacientes cardíacos, tales como cuidados intensivos, implantación de marcapasos y cardiodesfibriladores, diagnósticos oportunos o tecnologías de alto costo para otras condiciones de prioridad para el sistema de salud. En consecuencia, la decisión de incorporación debe considerar no solo los beneficios clínicos esperados, sino también el potencial desplazamiento de recursos destinados a otras prestaciones sanitarias.

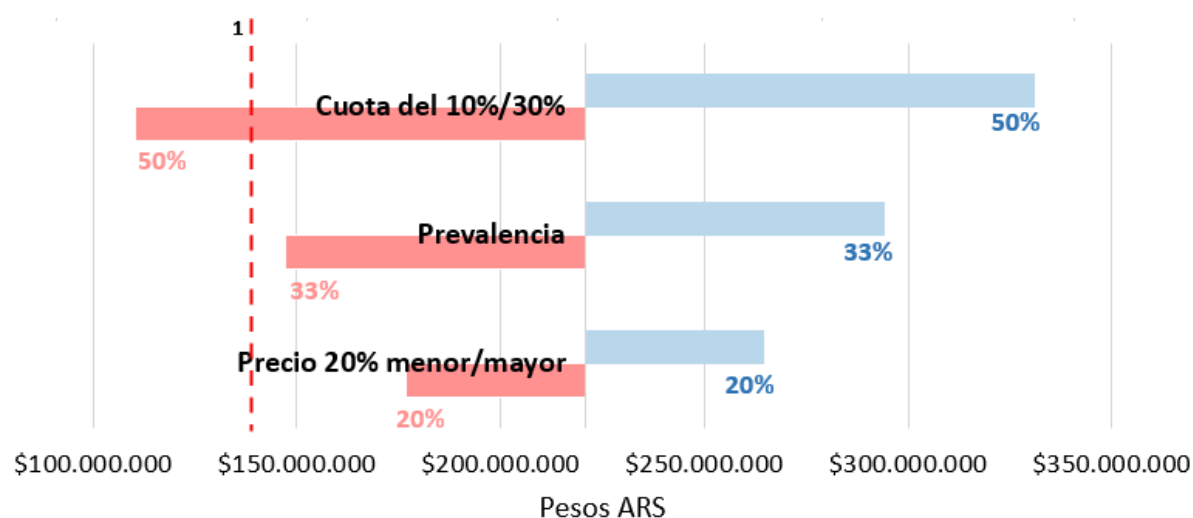
Financiar el tratamiento con mavacamten en el primer año es equivalente al costo del día en recuperación cardiovascular para 331 pacientes, según el nomenclador provincial vigente.

Análisis de sensibilidad

Para evaluar cómo cambia el resultado del AIP ante posibles modificaciones en los parámetros utilizados, se desarrolló un análisis de sensibilidad determinístico tomando en cuenta la modificación de los siguientes parámetros: valores mínimos y máximos de prevalencia de pacientes sintomáticos (5%-10%); cuota de mercado de la tecnología del primer año más conservadora (10%) y progresiva (30%), y aumento/disminución del precio de adquisición de mavacamten ($\pm 20\%$).

En la figura 10 se muestran los resultados de la estimación obtenida.

Figura 10: Análisis de sensibilidad del AIP con respecto a las distintas variables.



*1: Umbral de alto impacto presupuestario (\$ ARS 139.597.061).



El modelo demostró en primer lugar una mayor sensibilidad del AIP atribuible a la disminución/aumento de la cuota de participación de mercado, en segundo lugar el aumento/disminución de la prevalencia y en menor medida un aumento/disminución del precio de la tecnología. Particularmente, el escenario con la cuota de mercado más baja presentó un AIP inferior al umbral de alto impacto, por lo que este modelo resulta sensible a ser variable con el cambio de sus parámetros.

Por otro lado, para que la tecnología resulte inferior al umbral de alto impacto presupuestario y no comprometa la sostenibilidad financiera del gasto público, se debería proponer una reducción aproximadamente del 37% del precio considerado en este modelo, suponiendo todos los parámetros anteriores.

Otras evaluaciones económicas halladas

Cotté y col. (2025) ³⁶ realizaron un análisis de costo-utilidad de mavacamten en combinación con el tratamiento estándar (betabloqueantes y monoterapia con bloqueadores de los canales de calcio) en comparación con el tratamiento estándar solo, en pacientes con MCHO sintomática, desde la perspectiva del sistema sanitario francés. Su elaboración fue financiada por la industria productora de la tecnología.

Para ello, se desarrolló un modelo de Markov con datos clínicos y utilidades obtenidos a partir del ensayo clínico EXPLORER-HCM. La incertidumbre del modelo se evaluó mediante análisis de sensibilidad determinísticos y probabilísticos, así como mediante análisis de escenarios. Se aplicó una tasa de descuento anual del 2,5% tanto para los costos como para los resultados en salud.

Los resultados mostraron que mavacamten asociado al tratamiento estándar generó una ganancia incremental de 1,52 años de vida ajustados por calidad (AVAC) en comparación con el tratamiento estándar solo (14,90 frente a 13,38 AVAC), atribuida principalmente a una mejor distribución de los pacientes en categorías funcionales menos severas. Los costos incrementales descontados fueron de € 122.651 (€ 172.060 frente a € 49.409), atribuidos principalmente por los costos de adquisición de mavacamten. Como resultado, se estimó una razón de costo-utilidad incremental (ICUR) de € 80.799/AVAC.

Asimismo, el estudio evidenció reducciones en costos asociados a la utilización de recursos hospitalarios y ambulatorios, lo que determinó que mavacamten resultara costo-efectivo para una disposición a pagar de € 93.750/AVAC. Los resultados fueron considerados robustos debido a la limitada incertidumbre observada en los análisis de sensibilidad y de escenarios.

Sin embargo, los estudios que incorporaron la TRS como alternativa terapéutica señalaron que la exclusión de dicha intervención del análisis podría haber conducido a una subestimación de determinados cambios en los costos y en las utilidades asociadas al



tratamiento. En consecuencia, algunos de estos estudios concluyeron que mavacamten no resultaba una estrategia costo-efectiva en comparación con las alternativas evaluadas.

5.6- Impacto en la salud pública

Se utilizó la herramienta AETSalud (Anexo II) para valorar el impacto en la salud pública según se propone en el marco de valor vigente ([Marco de Valor](#)).³⁷ Se describen los resultados.

5.6.1- Carga de enfermedad - Políticas sanitarias

La MCHo sintomática confiere al paciente una reducción significativa de la capacidad funcional y de la calidad de vida relacionada con la salud, pérdida de autonomía con limitaciones de las actividades cotidianas y como consecuencia aumento de la carga de salud no solo en el entorno familiar del paciente, sino también en el sistema de salud porque requiere de internaciones hospitalarias para superar las complicaciones que acompañan a la MCHo. Mavacamten tendría como objetivo mejorar la calidad de vida de los pacientes, disminuir las internaciones y retrasar la necesidad de intervenciones invasivas que debido a su alta complejidad y baja casuística, cuentan con una experiencia local más limitada para su abordaje.

Se diagnostica de manera más tarde en las mujeres (entre 8 y 13 años después) que en los hombres y se ven afectadas de forma más grave, presentan con mayor frecuencia obstrucción del tracto de salida del ventrículo izquierdo y desarrollan con mayor frecuencia insuficiencia cardíaca avanzada durante el seguimiento.² Estas diferencias diagnósticas y clínicas subrayan la necesidad de una sospecha clínica activa de MCHo en mujeres con síntomas inespecíficos.

El Plan Provincial de Salud 2024-2030 no menciona explícitamente a la miocardiopatía hipertrófica obstructiva (MCHo). La patología queda incluida, de manera indirecta, dentro de categorías más amplias: como parte de las enfermedades cardiovasculares y de modo general, dentro de las líneas estratégicas dirigidas a las enfermedades no transmisibles (ENT). La Línea Estratégica N° 5 tiene como objetivo eficientizar la gestión y oferta de turnos específicos para pacientes con ENT, y la Línea Estratégica N.º 7 promueve la prevención y el autocuidado en esta misma población.³⁸

Además, el fracaso de la terapia médica estándar repercute de forma directa en la calidad de vida y la autonomía de los pacientes, incrementando el riesgo de morbilidad y discapacidad. Ante este escenario, quienes padecen MCHo sintomática y reúnan las condiciones regulatorias locales podrían incorporarse al régimen de las Leyes Nacionales 22.431³⁹ y 24.901⁴⁰ para la cobertura de cardiopatías severas.

El tratamiento modificaría moderadamente la condición a la que se dirige y está alineado con las metas sanitarias.



5.6.2- Impacto en la equidad

La mayoría de la literatura internacional proviene de centros de referencia, donde el diagnóstico y el manejo se llevan a cabo siguiendo protocolos estandarizados y con amplio acceso a estudios avanzados. En nuestro medio en cambio solo algunos centros cuentan con ecocardiografistas entrenados específicamente en la evaluación de MCH y podría reflejar un diagnóstico más tardío, probablemente asociado a limitaciones en el acceso temprano a especialistas y métodos diagnósticos avanzados.

Un estudio realizado en diferentes centros no especializados en Argentina menciona que existe una difusión e implementación limitada de guías, directrices y algoritmos diagnósticos; además de una heterogeneidad en la utilización de herramientas básicas lo que sugiere la necesidad de fortalecer la capacitación y la integración de estrategias diagnósticas estandarizadas en los centros no especializados, lo que podría contribuir a reducir el diagnóstico tardío y la mayor proporción de pacientes en estadios de clase funcional más avanzados observados en nuestro medio.⁴¹

Es importante destacar que los pacientes con MCHo sintomática que cumplan criterios de indicación de mavacamten y accedan al tratamiento deben tener un seguimiento estricto clínico y con ecocardiograma por profesionales capacitados para poder realizar el seguimiento al tratamiento y lograr que el paciente tenga el seguimiento óptimo necesario.

La inclusión de mavacamten podría ofrecer una oportunidad terapéutica previa a los tratamientos invasivos en este grupo poblacional y reducir los riesgos y complicaciones de la TRS al postergar la cirugía y evitar sus complicaciones asociadas. Sin embargo, su beneficio real sigue condicionado a resolver las barreras de diagnóstico y seguimiento especializado. Finalmente, de incorporarse la tecnología mitigaría desigualdades en acceso a la equidad.

5.6.3- Impacto ambiental

No se identificó literatura que evalúe específicamente el impacto ambiental de mavacamten en la MCHo. Al tratarse de un tratamiento farmacológico oral de administración ambulatoria, su incorporación no representaría un impacto ambiental negativo relevante. Por el contrario, en la medida en que permita evitar o postergar procedimientos invasivos como la TRS —asociados a un mayor impacto ambiental por el uso extendido de insumos y dispositivos descartables—, su incorporación podría contribuir a reducir el impacto ambiental neto del manejo de estos pacientes.

Mavacamten por su presentación comercial, implica una gestión habitual de residuos, según normativa vigente en Mendoza. (Ley Provincial N° 7.168).⁴²

La incorporación de mavacamten debido a que requiere seguimiento ecocardiográfico periódico, profesionales con experiencia en miocardiopatías y acceso a centros especializados, podría profundizar desigualdades preexistentes entre regiones o subsectores



del sistema de salud si no se acompaña de estrategias que garanticen un acceso equitativo. En consecuencia, se debería contemplar mecanismos de organización asistencial que permitan el acceso oportuno de todos los pacientes elegibles, independientemente de su lugar de residencia o condición de aseguramiento.

El impacto en la salud pública de la inclusión de mavacamten se valora como **probablemente positivo**.

5.7- Aspectos de implementación

La incorporación de mavacamten requiere establecer un circuito asistencial que garantice una adecuada selección de los pacientes, un seguimiento clínico y ecocardiográfico estructurado y la detección precoz de eventos adversos e interacciones farmacológicas.

Selección de pacientes

Promover el diagnóstico temprano y preciso de la miocardiopatía hipertrófica obstructiva (MCHO), mediante la capacitación de los equipos de salud y la utilización de criterios diagnósticos estandarizados, especialmente en centros no especializados.

La selección de pacientes para el tratamiento con mavacamten incluye a aquellos pacientes adultos con MCHO sintomática clase II y III de la NYHA que presenten persistencia de síntomas o deterioro ecocardiográfico pese al tratamiento médico optimizado con betabloqueantes y/o bloqueadores de los canales de calcio.

Evaluación previa al inicio del tratamiento

Antes de iniciar el tratamiento:

- Confirmar mediante ecocardiograma una fracción de eyección del ventrículo izquierdo (FEVI) $> 55\%$.
- Revisar la medicación concomitante para identificar medicamentos contraindicados o que requieran ajuste de dosis debido al riesgo de interacciones farmacológicas.
- Descartar embarazo en mujeres con capacidad reproductiva y brindar asesoramiento sobre la necesidad de utilizar un método anticonceptivo eficaz durante el tratamiento y durante el período recomendado tras su suspensión.

Seguimiento durante el tratamiento

- Establecer un esquema sistemático de monitoreo ecocardiográfico durante las fases de inicio y mantenimiento, con evaluación periódica de la FEVI y del gradiente del tracto de salida del ventrículo izquierdo (TSVI), a fin de orientar los ajustes de dosis o la eventual suspensión del tratamiento.



- Suspender el tratamiento cuando se documente una FEVI < 50% o ante la aparición de insuficiencia cardíaca o deterioro clínico atribuible a la disminución de la función sistólica.
- Realizar una revisión periódica de la medicación concomitante durante todo el tratamiento para detectar nuevas interacciones farmacológicas que puedan modificar la exposición a mavacamten y requerir ajustes de dosis o la suspensión de alguno de los tratamientos concomitantes.
- Suspender el tratamiento a los 4 a 6 meses si no se constata una respuesta clínica o hemodinámica significativa (mejoría de al menos una clase funcional NYHA, reducción del gradiente con Valsalva ≥ 30 mmHg o gradiente final <30 mmHg, o descenso de NT-proBNP) y reevaluar la indicación de TRS u opciones convencionales.

Organización de la atención

Debido a la complejidad del seguimiento y a la necesidad de ajustes periódicos de dosis, se recomienda que el inicio y la supervisión del tratamiento estén a cargo de médicos con experiencia en el manejo de la MCHo, con acceso a ecocardiografía seriada y capacidad para coordinar oportunamente los ajustes, interrupciones o discontinuaciones del tratamiento para prevenir la insuficiencia cardíaca secundaria a disfunción sistólica.

Consideraciones adicionales

Dado que la MCH es una enfermedad de origen genético, se recomienda ofrecer estudio genético en cascada a los familiares de primer grado cuando en el caso índice se haya identificado una variante patogénica o probablemente patogénica, de acuerdo con las recomendaciones vigentes.

Debido a las características de la medicación, es fundamental brindar un asesoramiento claro al paciente, familiar o cuidador sobre las interacciones medicamentosas, la toxicidad embriofetal y la identificación de signos o síntomas de insuficiencia cardíaca u otros efectos secundarios; esto permitirá realizar un monitoreo continuo durante el tratamiento para detectar y atender cualquier complicación de manera precoz.

6- Contribuciones de consulta pública

Con el objeto de ampliar el análisis e incorporar retroalimentación de los involucrados en todo el proceso de evaluación de la tecnología, se publicó el documento preliminar desde el 14 de julio al 3 de agosto de 2026. Se recibieron dos aportes, los cuales se encuentran disponibles en el siguiente [link](#). Luego de la lectura y análisis crítico de estos, las respuestas y/o aclaraciones a los aportes recibidos se describen a continuación:



- Como resultado de la participación pública se recibió información que respalda las complicaciones y mortalidad de las terapias de reducción septal, y refuerza la necesidad de que la misma se realice en centros especializados en MCH con alto volumen de intervenciones para obtener mejores resultados; esta participación también contribuye con resultados de la tecnología en condiciones reales y otras agencias de ETS.
- Adicionalmente, se ajustó el impacto presupuestario (modificando los costos de la Tabla 8 referidos al monitoreo de pacientes) acorde a la actualización de la disposición de ANMAT y el prospecto detallado en el mismo, el cual estableció un seguimiento ecocardiográfico cada 6 meses luego de la fase de inicial. Sin embargo, el modelo mantiene el resultado de alto impacto presupuestario si se incorpora esta tecnología en el ámbito estatal.
- Uno de los aportes recibidos mencionó que no resulta metodológicamente equiparable comparar el costo crónico y recurrente de mavacamten (tratamiento farmacológico continuo) con el costo puntual y único de la TRS (intervención quirúrgica o percutánea de una sola vez). En consecuencia, la evaluación de costo-efectividad realizada por Cotté y col. (2025) es coherente y se ajusta al análisis abordado.

7- Comité consultivo de la AETS

En reunión plenaria del día 05 de agosto de 2026, los miembros del Comité Consultivo (CC) de AETS (Res. AGPET 12/25), a partir del marco de valor adoptado por la Agencia Provincial ([acceso](#)), valoraron según la evidencia de las secciones anteriores y su propia perspectiva las categorías definidas para los dominios de dicho marco de valor (Anexo III).

Los resultados obtenidos de la valoración para mavacamten en MCHo, se describen a continuación:

- Efectos en la salud: El 100% de los miembros del CC valoraron que la tecnología propuesta tiene un efecto para la salud *considerable*.
- Impacto en el gasto público: El 91.7% de los miembros del CC valoraron que la tecnología propuesta tiene un *alto* impacto en el gasto con respecto a su comparador, mientras que el 8.3% lo valoró como *incierto*.
- Impacto en salud pública: El 75% de los miembros valoraron que la tecnología propuesta tendría un impacto *probablemente positivo* mientras que un 8.3% lo valoró como *positivo*, el otro 8.3% como *probablemente negativo* en salud pública respecto de su comparador.

8- Conclusión

La MCHo sintomática se asocia a una mayor morbilidad y mortalidad que la población general, siendo una de las principales causas de muerte súbita e insuficiencia cardíaca, además de



afectar significativamente la calidad de vida relacionada con la salud. Los pacientes que no responden o son intolerantes al tratamiento estándar con betabloqueantes y/o bloqueadores de los canales de calcio y persisten con síntomas significativos serían candidatos a terapia de reducción septal, un procedimiento invasivo no exento de complicaciones. En este contexto, mavacamten surge como una opción terapéutica para este grupo de pacientes.

Mavacamten, en comparación con la terapia estándar, reduce la proporción de pacientes elegibles para terapia de reducción septal, mejora la clase funcional NYHA, mejora la calidad de vida relacionada con la salud y reduce el gradiente del tracto de salida del ventrículo izquierdo en reposo y post maniobra de Valsalva con certeza en la evidencia de moderada a alta. La evidencia respecto a la mortalidad por todas las causas proviene de un estudio observacional retrospectivo que sugirió una reducción de la mortalidad con mavacamten. Dichos hallazgos deben interpretarse con cautela debido al diseño del estudio.

En cuanto a los desenlaces de seguridad mavacamten probablemente resulte en un leve incremento en efectos adversos emergentes del tratamiento con moderada calidad de la evidencia y no mostró un incremento relevante de efectos adversos graves con baja calidad de la evidencia para este desenlace. El efecto en la salud de mavacamten en la MCHo sintomática se valora como **considerable**.

En cuanto al impacto en el gasto público, el análisis concluyó que la incorporación de mavacamten resultaría en un **alto** impacto presupuestario. La modificación de parámetros como una cuota de mercado más conservadora o una disminución del 38% del precio de adquisición de mavacamten podría cambiar este resultado.

La atención de la MCHo se encuentra alineada con las políticas sanitarias provinciales vigentes. Sin embargo, podrían existir inequidades vinculadas al acceso limitado a ecocardiografistas entrenados y al diagnóstico genético. No obstante, mavacamten representaría una alternativa terapéutica para retrasar la TRS, aunque existe incertidumbre sobre si esta última intervención es una alternativa terapéutica plausible en el medio local. El impacto ambiental sería neutro a favorable, al evitar procedimientos invasivos más contaminantes. El impacto en salud pública se valora como **probablemente positivo**.

9- Valoración realizada

A continuación, se resume en la valoración realizada. Tabla 10.



Tabla 10: Resumen de valoración de la incorporación de mavacamten en el sistema público estatal de la provincia de Mendoza.

DOMINIO	VALORACIÓN
Efectos en la salud	Considerable
Impacto en el gasto público	Alto
Impacto en la salud pública	Probablemente positivo

Autores: Venier G.; Rios R.; Fitt V.

Supervisión técnica: Álvarez, Jorgelina.

Pertenencia: Agencia Provincial de Evaluación de Tecnologías Sanitarias de Mendoza (AETS).

Conflictos de interés: ninguno de los autores presentó conflictos de interés con la tecnología analizada.

Fecha de realización: mayo - julio 2026. Fecha de publicación: 21 de agosto de 2026.

Contacto: info@aets.com.ar



10- Anexo I

Perfil de evidencia de mavacamten versus terapia estándar en MCHO.

Evaluación de certeza							Nº de pacientes		Efecto		Certeza	Importancia
Nº de estudios	Diseño de estudio	Riesgo de sesgo	Inconsistencia	Evidencia indirecta	Imprecisión	Otras consideraciones	Mavacamten	Terapia estándar	Relativo (95% CI)	Absoluto (95% CI)		
Elegibilidad para terapia de reducción septal (seguimiento: rango 16 semanas a 30 semanas)												
2	ensayos aleatorios	no es serio	no es serio	serio ^a	no es serio	ninguno	36/179 (20.1%)	127/184 (69.0%)	RR 0.29 (0.21 a 0.40)	490 menos por 1000 (de 545 menos a 414 menos)	 Moderado ^a	CRÍTICO
Calidad de vida (seguimiento: rango 16 semanas a 30 semanas)												
3	ensayos aleatorios	no es serio	no es serio	no es serio	no es serio	ninguno	233	211	-	MD 9.35 más alto. (7.41 más alto. a 11.28 más alto.)	 Alta	CRÍTICO
Efectos adversos graves (seguimiento: rango 16 semanas a 30 semanas)												
3	ensayos aleatorios	no es serio	no es serio	no es serio	muy serio ^b	ninguno	12/233 (5.2%)	5/210 (2.4%)	RR 1.77 (0.61 a 5.15)	18 más por 1000 (de 9 menos a 99 más)	 Baja ^b	CRÍTICO
Cambio en la clase funcional NYHA (seguimiento: rango 16 semanas a 30 semanas)												
3	ensayos aleatorios	no es serio	no es serio	no es serio	no es serio	ninguno	147/233 (63.1%)	56/211 (26.5%)	RR 2.46 (1.77 a 3.42)	387 más por 1000 (de 204 más a 642 más)	 Alta	IMPORTANTE
Cambio en el gradiente de presión del TSVI en reposo. (seguimiento: rango 16 semanas a 30 semanas)												
2	ensayos aleatorios	no es serio	serio ^c	no es serio	no es serio	ninguno	110	83	-	MD 43.92 mmHg menor (63.93 menor a 23.9 menor)	 Moderado ^c	IMPORTANTE
Cambio en el gradiente de presión del TSVI post maniobra de Valsalva (seguimiento: rango 16 semanas a 30 semanas)												
3	ensayos aleatorios	no es serio	serio ^d	no es serio	no es serio	ninguno	227	205	-	MD 46.09 mmHg menor (60.54 menor a 31.65 menor)	 Moderado ^d	IMPORTANTE
Efectos adversos emergentes del tratamiento (seguimiento: rango 16 semanas a 30 semanas)												
3	ensayos aleatorios	no es serio	no es serio	no es serio	serio ^e	ninguno	194/233 (83.3%)	159/210 (75.7%)	RR 1.07 (0.94 a 1.21)	53 más por 1000 (de 45 menos a 159 más)	 Moderado ^e	IMPORTANTE

CI: Intervalo de confianza; MD: Diferencia media; RR: Razón de riesgo.

Explicaciones

- Heterogeneidad en la definición del desenlace, clase funcional NYHA y duración de seguimiento.
- Amplio intervalo de confianza e incluye la medida del no efecto.
- Heterogeneidad: 79 % por diferencias en las características basales de los pacientes.
- Heterogeneidad: 75% por diferencia en las características basales de los pacientes.
- El intervalo de confianza incluye la medida del no efecto.



11- Anexo II

Herramienta AETSalud - Dominio Salud Pública.

A. SECCIÓN INTRODUCCIÓN

Sección introducción	Si	No	Parcial	Observaciones
<i>“¿Se describe la carga de la condición a la que se dirige la TS?”</i>	X			
<i>“¿Se describen políticas sanitarias locales que consideren a la condición a la que se dirige la TS?”</i>			X	No se identificaron políticas sanitarias específicas para MCHO.

B. SECCIÓN OBJETIVOS DEL INFORME

Sección objetivos	Si	No	Parcial	Observaciones
<i>“¿Se incluyó salud pública, equidad e impacto ambiental como objetivo del informe?”</i>	X			

C. SECCIÓN PREGUNTA DE INVESTIGACIÓN

Sección pregunta de investigación	Si	No	Parcial	Observaciones
Por la naturaleza de la condición se requiere considerar (sección para relatar resultados):				
– Lugar de residencia (urbano, urbano-marginal, rural).		X		
– Género, etnia.		X		
– Socioculturales (educación alcanzada, empleo, creencias morales y/o religiosas).		X		
Etapas de la vida (infancias, niñez, adolescencias, adultos, adultos mayores, ancianos, final de la vida).	X			Adultos
¿Otro? Describir		X		

D. SECCIÓN BÚSQUEDA BIBLIOGRÁFICA

Sección búsqueda bibliográfica	Si	No	Parcial	Observaciones
Se indagó sobre estudios y datos de fuentes locales y/o regionales (Mendoza-Argentina),	X			Se consultó a laboratorios genéticos y a la



sobre población según ejes con inequidades sanitarias (ver pregunta de investigación).				Sociedad Argentina de Cardiología
Se indagó sobre estudios y datos locales o globales acerca del impacto ambiental del uso de la TS en el entorno local.	X			No se identificaron estudios.
De no ser posible integrar en la búsqueda bibliográfica general los ejes sugeridos, se realizó una búsqueda bibliográfica aparte con estos descriptores y reportar en sección resultados.	X			

E. SECCIÓN RESULTADOS DEL IMPACTO EN LA SALUD PÚBLICA

Sección resultados del dominio salud pública	Si	No	Parcial	Observaciones
¿Están descritos los principales resultados del impacto de salud pública considerando los criterios al interior del mismo?	X			

F. SECCIÓN CONCLUSIONES DEL DOMINIO SALUD PÚBLICA

Carga de enfermedad - Políticas sanitarias

Sección conclusiones del dominio salud pública	Si	No	Parcial	Observaciones
Intervención/tecnologías modifica sustancialmente/moderadamente/marginalmente la condición a la cual se dirige.	X			Moderadamente
Intervención/tecnologías está alineada con metas sanitarias locales, regionales.			X	
Intervención/tecnologías está alineada con procesos de promoción, prevención primaria local/nacional.		X		
Intervención/tecnología que está destinada a condiciones de salud desatendidas, emergentes o re-emergentes.		X		

Equidad

Sección equidad del dominio salud pública	Si	No	Parcial	Observaciones
---	----	----	---------	---------------



¿La población objetivo incluyó grupos según los ejes? ¿Se hallaron datos, información que documenten esta situación?		X		
¿Existen indicios de que existen grupos en desventaja aunque no están documentados?	X			Indicios de diagnóstico tardío y peor evolución clínica en mujeres
¿Existen condiciones de base distintas entre grupos según ejes de inequidad que anticipen efectos diferenciales en la efectividad de la TS, tales como factores de exposición o vulnerabilidad, barreras sociales, que actúen como modificadores de los efectos en los desenlaces seleccionados como críticos e importantes?	X			Barreras de acceso a test genéticos para el diagnóstico y limitaciones para el seguimiento periódico en centros especializados.
¿La TS podría incrementar/mitigar/no modificar desigualdades en acceso a la salud existentes?	X			Mitigaría.

Impacto ambiental

Sección impacto ambiental del dominio salud pública	Si	No	Parcial	Observaciones
Intervención/tecnologías que implican una gestión especial de residuos.		X		
Intervención/tecnologías que implican un uso reducido de combustibles fósiles, mejora en la calidad del aire, y/o reducción de gases de efecto invernadero.		X		
Otro aspecto a criterio del evaluador y/o los participantes y expertos que deba ser considerado.		X		



12- Anexo III

Marco de valor – Resumen de dominios y ponderación.

Criterio de evaluación	Categorías de valoración	Descripción –Supuestos de valoración
Efectos para la salud	MAYOR / CONSIDERABLE / MENOR / INCIERTO	Evalúa la magnitud del beneficio clínico, la calidad de la evidencia del tratamiento o intervención en la salud de la población objeto, basado en desenlaces críticos e importantes.
Impacto en el gasto público	ALTO / INCIERTO / BAJO	Considera el efecto de la intervención o tecnología sobre el uso de los recursos financieros del sistema de salud y si la intervención es asequible: presupuesto, sostenibilidad financiera. Costo-efectividad.
Impacto en salud pública	POSITIVO / PROBABLEMENTE POSITIVO / SIN IMPACTO / PROBABLEMENTE NEGATIVO / NEGATIVO	Mide los efectos agregados de la intervención en la población: reducción carga de enfermedad. Valora si la intervención está alienada a las políticas gestión (Plan de Salud, Agenda de Salud Pública regional).Evalúa cómo la intervención afecta la equidad en salud: acceso, distribución de beneficios y reducción de desigualdades. Valora si la intervención afecta el medio ambiente.



13- Bibliografía

- 1- Fernández A, Atamañuk AN, Baratta S, et al. Consenso Argentino de Diagnóstico y Tratamiento de la Miocardiopatía Hipertrófica. Año 2025. Rev Argent Cardiol. 2026;94(suppl 2):1-114. doi:10.7775/rac.es.v94.s2
- 2- Arbelo E, Protonotarios A, Gimeno JR, et al; ESC Scientific Document Group. 2023 ESC Guidelines for the management of cardiomyopathies. Eur Heart J. 2023;44(37):3503-3626. doi:10.1093/eurheartj/ehad194
- 3- Decotto S, Spaccavento A, Blanco R, Pérez de Arenaza D, Costabel JP. Rol de los inhibidores de miosina en miocardiopatía hipertrófica: revisión de la evidencia y aplicación clínica. Rev Argent Cardiol. 2025;93(5):384-392. doi:10.7775/rac.es.v93.i5.20924
- 4- Hasana U, Korpál M, Haider F, et al. Cardiac myosin inhibitors for hypertrophic cardiomyopathy: a systematic review and meta-analysis of randomized controlled trials. Ann Med Surg (Lond). 2025;87(6):3810-3818. Published 2025 Apr 29. doi:10.1097/MS9.0000000000003326
- 5- Fernández A, Thierer J, Fairman E, et al. Consenso de Insuficiencia Cardíaca 2022 (p. 4). Rev Argent Cardiol (p. 4). 2023;91(supl 2):1-80 (p. 4). doi:10.7775/rac.es.v91.s2
- 6- Ventura D, Garcia Marti S, Alfie V, et al. Mavacamten en insuficiencia cardíaca obstructiva. Instituto de Efectividad Clínica y Sanitaria; Marzo 2025. Documentos de Evaluación de Tecnologías Sanitarias, Informe de Respuesta Rápida No 1019. iecs.org.ar
- 7- Montijano Cabrera AM, Bouzas Zubeldía B, Penas Lado M, McKenna WJ. Estrategias terapéuticas en la miocardiopatía hipertrófica obstructiva sintomática. Rev Esp Cardiol. 2001;54(9):1084-1094. doi:10.1016/S0300-8932(01)76456-9
- 8- U.S. Food and Drug Administration. Camzyos (mavacamten) capsules, for oral use: Highlights of Prescribing Information; Full Prescribing Information. Silver Spring, MD: U.S. Food and Drug Administration; April 2022. Accessed July 8, 2026.
- 9- European Medicines Agency. Camzyos (mavacamten): EPAR – Medicine overview. European Medicines Agency. Published July 24, 2023. Accessed July 8, 2026. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/camzyos>
- 10- Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica (ANMAT). Disposición DI-2024-5505-APN-ANMAT#MS. Autorización de comercialización de Camzyos (mavacamten) 2,5 mg, 5 mg, 10 mg y 15 mg, cápsulas. Publicada el 25 de junio de 2024. Accessed July 8, 2026.



- 11- Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica (ANMAT). Disposición DI2025-5325-APN-ANMAT#MS. Nuevo proyecto de prospecto CAMZYOS® (mavacamten) 2,5/5/10/15 mg cápsulas. 24 de julio de 2025.
- 12- Alfabeta SACIFyS. Camzyos. Manual Farmacéutico Digital. Accessed July 8, 2026. <https://www.alfabeta.net/precio/camzyos.html>
- 13- 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. *Lancet*. 2020;396(10253):759-769. doi:10.1016/S0140-6736(20)31792-X
- 14- Gersh BJ, Maron BJ, Bonow RO, et al. 2011 ACCF/AHA Guideline for the Diagnosis and Treatment of Hypertrophic Cardiomyopathy: a report of the American College of Cardiology Foundation/American Heart Association Task Force on Practice Guidelines. Developed in collaboration with the American Association for Thoracic Surgery, American Society of Echocardiography, American Society of Nuclear Cardiology, Heart Failure Society of America, Heart Rhythm Society, Society for Cardiovascular Angiography and Interventions, and Society of Thoracic Surgeons. *J Am Coll Cardiol*. 2011;58(25):e212-e260. doi:10.1016/j.jacc.2011.06.011
- 15- Desai MY, Owens A, Geske JB, et al. Myosin Inhibition in Patients With Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy Referred for Septal Reduction Therapy. *J Am Coll Cardiol*. 2022;80(2):95-108. doi:10.1016/j.jacc.2022.04.048
- 16- Green CP, Porter CB, Bresnahan DR, Spertus JA. Development and evaluation of the Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire: a new health status measure for heart failure. *J Am Coll Cardiol*. 2000;35(5):1245-1255. doi:10.1016/s0735-1097(00)00531-3
- 17- Butler J, Shahzeb Khan M, Lindenfeld J, et al. Minimally Clinically Important Difference in Health Status Scores in Patients With HFReF vs HFPeF. *JACC Heart Fail*. 2022;10(9):651-661. doi:10.1016/j.jchf.2022.03.003
- 18- Tian Z, Li L, Li X, et al. Effect of Mavacamten on Chinese Patients With Symptomatic Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy: The EXPLORER-CN Randomized Clinical Trial. *JAMA Cardiol*. 2023;8(10):957-965. doi:10.1001/jamacardio.2023.3030
- 19- International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use. International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use. Accessed June 17, 2026. <https://www.ich.org>
- 20- Organización Panamericana de la Salud. Herramienta para la adaptación de informes de evaluación de tecnologías sanitarias. November 8, 2024. doi:<https://doi.org/10.37774/9789275329177>



- 21- Yacoub MS, El-Nakhal T, Hasabo EA, et al. A systematic review and meta-analysis of the efficacy and safety of Mavacamten therapy in international cohort of 524 patients with hypertrophic cardiomyopathy. *Heart Fail Rev.* 2024;29(2):479-496. doi:10.1007/s10741-023-10375-6
- 22- Felix N, Teixeira L, Nogueira A, et al. Cardiac Myosin Inhibitors for Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy: A Meta-analysis of Randomized Placebo-Controlled Trials. *Am J Cardiovasc Drugs.* 2025;25(3):361-371. doi:10.1007/s40256-024-00710-z
- 23- Patel N, Gaonkar M, Pampana A, et al. Clinical Outcomes With Mavacamten Use in Patients With Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy Using Real-World Data. *Mayo Clin Proc.* 2026;101(2):284-294. doi:10.1016/j.mayocp.2025.01.003
- 24- Garcia-Pavia P, Oręziak A, Masri A, et al. Long-term effect of mavacamten in obstructive hypertrophic cardiomyopathy. *Eur Heart J.* 2024. doi:10.1093/eurheartj/ehae579
- 25- Desai MY, Wolski K, Owens A, et al. Mavacamten in patients with hypertrophic cardiomyopathy referred for septal reduction: week 128 results from VALOR-HCM. *Circulation.* 2025;151(19):1378-1390. doi:10.1161/CIRCULATIONAHA.124.072445
- 26- Pharmaceutical Benefits Advisory Committee. Public Summary Document: Mavacamten for obstructive hypertrophic cardiomyopathy. November 2023 PBAC Meeting. Canberra, Australia: Australian Government Department of Health and Aged Care; November 2023. Accessed June 24, 2026. mavacamten-psd-nov-2023.pdf
- 27- Pharmaceutical Benefits Scheme. PBS Medicine Search: Mavacamten. Australian Government Department of Health and Aged Care. Accessed June 23, 2026. <https://www.pbs.gov.au/search?term=mavacamten&search-type=medicines&analyse=false>
- 28- Agency for Care Effectiveness, Ministry of Health, Singapore. Mavacamten for treating obstructive hypertrophic cardiomyopathy. Published June 4, 2025. Accessed June 23, 2026. <https://www.ace-hta.gov.sg/healthcare-professionals/ace-technology-guidances/drug-guidance/mavacamten-for-treating-obstructive-hypertrophic-cardiomyopathy>
- 29- Haute Autorité de Santé (HAS). CAMZYOS (mavacamten) 2.5 mg, 5 mg, 10 mg and 15 mg hard capsules: Summary of the Transparency Committee opinion. Saint-Denis: HAS; October 2023. CT20438.
- 30- Ommen SR, Ho CY, Asif IM, et al. 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. *Circulation.* Publicado en línea el 8 de mayo de 2024. doi:10.1161/CIR.0000000000001250.



- 31- INDEC: Instituto Nacional de Estadística y Censos de la República Argentina. Accessed July 7, 2026. <https://www.indec.gob.ar/>
- 32- Chen QF, Hu J, Hu J, et al. Clinical characteristics and prognosis of patients with hypertrophic cardiomyopathy and heart failure with preserved ejection fraction. *Clin Res Cardiol.* 2024;113(6):761-769. doi:10.1007/s00392-023-02371-5.
- 33- Maurizi N, Olivotto I, Maron MS, et al. Lifetime clinical course of hypertrophic cardiomyopathy: outcome of the historical Florence cohort over 5 decades. *JACC Adv.* 2023;2(4):100337. doi:10.1016/j.jacadv.2023.100337.
- 34- Dirección de Estadísticas e Investigaciones Económicas. Encuesta de Condiciones de Vida. Dirección de Estadísticas e Investigaciones Económicas, Ministerio de Gobierno, Infraestructura y Desarrollo Territorial; 2024. Accessed July 7, 2026. https://drive.google.com/file/d/1n4-myu9gQ7Fx_qKplc3kj66p9KstcQr8/view?usp=sharing&usp=embed_facebook
- 35- Gobierno de Mendoza, Ministerio de Salud y Deportes. Nomenclador de Servicios de Salud. Ministerio de Salud y Deportes de Mendoza; 2 de marzo de 2026. Resolución N° 000348.
- 36- Cotté FE, Hurst M, Akarkoub S, et al. Cost-effectiveness of Mavacamten for the treatment of patients with symptomatic obstructive hypertrophic cardiomyopathy using a French healthcare perspective. *Eur J Health Econ.* 2026;27(1):65-76. doi:10.1007/s10198-025-01808-0
- 37- Álvarez J, Gatica C. Marco de Valor de la Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias Mendoza. Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias de Mendoza; 2026. <https://www.aets.com.ar>
- 38- Ministerio de Salud y Deportes de Mendoza. Plan Provincial de Salud 2024-2030. Gobierno de Mendoza; 2024. Consultado el 8 de julio de 2026. Archivo PDF.
- 39- Ley N° 22.431: Sistema de protección integral de los discapacitados. Congreso de la Nación Argentina. Boletín Oficial de la República Argentina. 20 de marzo de 1981. Accedido el 8 de julio de 2026. infoleg.gob.ar
- 40- Ley N° 24.901: Sistema de prestaciones básicas en habilitación y rehabilitación integral a favor de las personas con discapacidad. Congreso de la Nación Argentina. Boletín Oficial de la República Argentina. 5 de diciembre de 1997. Accedido el 8 de julio de 2026. infoleg.gob.ar
- 41- Cáceres L, Cano R, Correa Sadouet C, Mahl A, Streintenberger G, Mazo G, Kanchi M, D'Imperio H. Datos preliminares del registro de miocardiopatía hipertrófica en centros no



especializados en Argentina. Explorando detrás de los velos de la práctica cotidiana. Rev Argent Cardiol. 2024;92(2):147-153. doi:10.7775/rac.es.v92.i2.20751

42- Provincia de Mendoza. Ley N° 7168: Residuos Patogénicos y Farmacéuticos. Boletín Oficial de la Provincia de Mendoza. 15 de diciembre de 2003. Disponible en: <https://www.mendoza.gov.ar/wp-content/uploads/sites/34/2024/11/Ley-N%C2%B0-7168-Patogenicos.pdf>

