



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/36692/2026  
EMA/H/C/005119

## Кугевви (doxecitine/doxribtimine)

Общ преглед на Кугевви и защо е разрешен за употреба в ЕС

### Какво представлява Кугевви и за какво се използва?

Кугевви е лекарство, което се използва за лечение на хора с дефицит на тимидинкиназа 2 (TK2d), потвърден с генетичен тест, чиито симптоми на заболяването започват на или преди 12-годишна възраст. TK2d е заболяване, причинено от мутации (промени) в гена *TK2*, което води до прогресивна мускулна слабост, загуба на способност за движение и ходене, затруднения в дишането и намалена очаквана продължителност на живота.

TK2d се счита за рядко заболяване и Кугевви е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 20 април 2017 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта](#) на ЕМА.

Кугевви съдържа активните вещества доксецитин (doxecitine) и доксрибтимин (doxribtimine).

### Как се използва Кугевви?

Кугевви се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се наблюдава от лекар с опит в заболяванията, засягащи митохондриите — произвеждащите енергия компоненти в клетките.

Кугевви се предлага под формата на прах за смесване с вода и прием през устата три пъти дневно.

За повече информация относно употребата на Кугевви вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

### Как действа Кугевви?

Ензимът TK2 помага за производството и поддържането на ДНК в митохондриите. При хора с TK2d мутациите в TK2 пречат на правилното му функциониране. В резултат на това митохондриите не функционират както трябва, а мускулите не могат да произвеждат достатъчно енергия, което води до прогресивна мускулна слабост.

Начинът на действие на Кугевви при хора не е потвърден. Същевременно проучванията при животни предполагат, че активните му вещества доксецитин и доксрибтимин (градивни елементи на ДНК) се поглъщат от мускулните клетки и стават част от митохондриалната ДНК. Това спомага за подобряване на производството и поддържането на митохондриална ДНК. По този начин се

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



очаква Kugevvi да компенсира намалената активност на ТК2 и да спомогне за забавяне на влошаването на мускулната слабост при хората със заболяването.

## **Какви ползи от Kugevvi са установени в проучванията?**

При възрастни и деца с ТК2d, потвърден чрез генетични изследвания, при които симптомите на заболяването започват на или преди 12-годишна възраст, лечението с Kugevvi позволява на хората да си възстановят етапите в двигателното развитие.

Тъй като ТК2d е рядко заболяване, пациентите са твърде малко, за да се проведе проучване, сравняващо Kugevvi с друго лечение или с плацебо (сляпо лечение). Поради това ефектите на Kugevvi са оценени, като са разгледани медицинските досиета на пациентите и резултатите от проучване, в което всички пациенти получават Kugevvi. В оценката са включени общо 39 пациенти, чиито симптоми са започнали на или преди 12-годишна възраст.

Ефектът от лечението е оценен чрез сравняване на етапите на двигателното развитие, като способността за седене, стоене или ходене, преди и след започване на лечението с Kugevvi. По време на лечението около 84 % от пациентите (26 от 31) са си възстановили поне един етап на двигателното развитие, докато около 26 % (10 от 38) са загубили поне един етап.

## **Какви са нежеланите реакции и ограниченията при Kugevvi?**

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Kugevvi вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Kugevvi (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват диария, повръщане и коремна болка.

## **Защо Kugevvi е разрешен за употреба в ЕС?**

Към момента на издаване на разрешението не е имало разрешено лечение за ТК2d и грижите са били ограничени до мерки за подкрепа. Те включват осигуряване на хранене през сонда за хранене, физиотерапия за подпомагане на движението и подпомагане на дишането с използване на респиратор.

Показано е, че Kugevvi позволява на пациентите, чиито симптоми на заболяването са започнали на или преди 12-годишна възраст, да си възстановят основните етапи на двигателното развитие. Въпреки че съществува известна несигурност относно степента на ефекта, възвръщането на ключовите етапи на двигателното развитие е рядко явление в естествения ход на заболяването. Поради това е вероятно възстановяването на основните етапи на двигателното развитие да се дължи на лечението с Kugevvi. Наличните данни не могат да покажат дали Kugevvi оказва ефект върху продължителността на живота на пациентите. Допълнителни проучвания ще предоставят повече информация за преодоляване на тези неясноти.

Най-честите нежелани реакции са свързани с червата и се считат за управляеми.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Kugevvi са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Kugevvi е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Причината е, че не е било възможно да се получи пълна информация за Kugevvi поради рядкото разпространение на заболяването. Фирмата трябва да предостави допълнителни данни за Kugevvi. Тя трябва да представи резултатите от ново проучване, за да се потвърди безопасността и ефективността на

лекарството. Всяка година ЕМА ще прави преглед на всяка нова информация, която стане налична.

### **Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Kygevvi?**

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Kygevvi, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Kygevvi непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Kygevvi, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

### **Допълнителна информация за Kygevvi:**

Допълнителна информация за Kygevvi можете да намерите на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevvi](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevvi).