



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/792190/2022
EMA/H/C/005540

Pyrukynd (*mitapivat*)

Общ преглед на Pyrukynd и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Pyrukynd и за какво се използва?

Pyrukynd е лекарство, което се използва за лечение на възрастни с дефицит на пируват киназа (ПК дефицит) — наследствено заболяване, което причинява по-бързо разграждане на червените кръвни клетки, отколкото е нормално.

ПК дефицитът се счита за рядко заболяване и Pyrukynd е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 22 април 2020 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите тук:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Pyrukynd съдържа активното вещество митапиват (*mitapivat*).

Как се използва Pyrukynd?

Pyrukynd се отпуска по лекарско предписание. Предлага се под формата на таблетки за прием през устата. Препоръчителната начална доза е една таблетка от 5 mg, приемана два пъти дневно. Дозата може да се увеличава на всеки четири седмици въз основа на нивата на хемоглобина (протеинът в червените кръвни клетки, който пренася кислорода в организма) и нуждата от кръвопреливане през последните 8 седмици. Максималната препоръчителна доза Pyrukynd е 50 mg два пъти дневно.

Ако се налага лечението да се прекъсне или преустанови напълно, дозата Pyrukynd трябва постепенно да се намали за период от 1 до 2 седмици.

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

Как действа Pyrukynd?

Пациентите с ПК дефицит имат мутирала форма на пируват киназата — протеин в червените кръвни клетки, който преобразува глюкозата в енергия. В резултат на това техните червени кръвни клетки не могат да произвеждат достатъчно енергия, за да задържат формата си, което ги кара да се разградят, преди организмът да има време да ги замени. Това прекомерно разрушаване на червените кръвни клетки е известно като хемолитична анемия.

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

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

An agency of the European Union



Активното вещество в Pyrukynd, митапиват, се свързва и активира пируват киназата, което я кара да действа по-ефективно и по този начин предотвратява прекалено бързото разграждане на червените кръвни клетки на тези пациенти.

Какви ползи от Pyrukynd са установени в проучванията?

Ползите от Pyrukynd са оценени в две основни проучвания. В първото проучване, обхващащо 80 пациенти с ПК дефицит, които не са получавали редовно кръвопреливане, Pyrukynd е сравнен с плацебо (сляпо лечение). В това проучване при 40 % от пациентите, лекувани с Pyrukynd, има увеличение на нивата на хемоглобин от 1,5 g/dl, което се поддържа при 2 или повече контролни посещения след 16, 20 и 24 седмици на лечение, в сравнение с нито един от пациентите, лекувани с плацебо.

Във второто проучване, обхващащо 27 пациенти, на които редовно се прилага кръвопреливане, Pyrukynd не е сравнен с плацебо или с други лекарства. В това проучване обемът на червените кръвни клетки, получени при кръвопреливания, е намален с повече от една трета при 37 % от пациентите.

Какви са рисковете, свързани с Pyrukynd?

Най-честите нежелани реакции при Pyrukynd (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) са безсъние (нарушения на съня), гадене (позиви за повръщане) и намалени нива на хормона естрон, наблюдавани при кръвни изследвания при пациенти от мъжки пол.

За пълния списък на нежеланите реакции, съобщени при Pyrukynd, вижте листовката.

Защо Pyrukynd е разрешен за употреба в ЕС?

Възможностите за лечение на пациенти с ПК дефицит са ограничени, тъй като лечението на заболяването е ограничено до поддържащи лечения, за да се подобрят симптомите и усложненията, свързани с хемолитичната анемия. Въпреки че има някои ограничения, свързани с основните проучвания, е доказано, че Pyrukynd осигурява клинично значими ползи за някои пациенти с ПК дефицит, като увеличава нивата на хемоглобина и намалява необходимостта от кръвопреливания. Поради това се счита, че Pyrukynd отговаря на неудовлетворени медицински нужди при тези пациенти.

Освен това се счита, че нежеланите реакции при Pyrukynd могат да се овладеят. Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Pyrukynd са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Pyrukynd?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Pyrukynd, 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 Pyrukynd непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Pyrukynd, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Pyrukynd:

Допълнителна информация за Pyrukynd можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd