



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kygevvi (doxecitin/doxribtimin)

Přehled pro přípravek Kygevvi a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Kygevvi a k čemu se používá?

Kygevvi je léčivý přípravek, který se používá k léčbě osob s deficitem thymidinkinázy 2 potvrzeným genetickým testem, u nichž se příznaky onemocnění poprvé objevily ve věku 12 let nebo dříve. Deficit thymidinkinázy 2 je onemocnění způsobené mutacemi (změnami) v genu thymidinkinázy 2, které vedou k progresivní (zhoršující se) svalové slabosti, ztrátě schopnosti pohybu a chůze, dýchacím potížím a kratší střední délce života.

Deficit thymidinkinázy 2 je vzácné onemocnění a přípravek Kygevvi byl označen dne 20. dubna 2017 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Kygevvi obsahuje léčivé látky doxecitin a doxribtimin.

Jak se přípravek Kygevvi používá?

Výdej přípravku Kygevvi je vázán na lékařský předpis. Léčba by měla probíhat pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s onemocněními postihujícími mitochondrie, což jsou složky buněk produkující energii.

Přípravek Kygevvi je k dispozici ve formě prášku, který se smíchá s vodou a užívá se ústy třikrát denně.

Více informací o používání přípravku Kygevvi naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Kygevvi působí?

Enzym thymidinkináza 2 pomáhá vytvářet a udržovat DNA v mitochondriích (tzv. mitochondriální DNA). U osob s deficitem thymidinkinázy 2 mutace v tomto enzymu brání jeho správnému fungování. V důsledku toho mitochondrie nefungují tak, jak by měly, a svaly nedokáží produkovat dostatek energie, což vede ke zhoršující se svalové slabosti.

Způsob, jakým přípravek Kygevvi působí u lidí, nebyl potvrzen. Ze studií na zvířatech však vyplývá, že jeho léčivé látky, doxecitin a doxribtimin (stavební kameny DNA), jsou vstřebávány svalovými buňkami a stávají se součástí mitochondriální DNA, což pomáhá zlepšit vytváření a udržování mitochondriální

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



DNA. Předpokládá se, že přípravek Kygeggi tímto způsobem kompenzuje sníženou aktivitu thymidinkinázy 2 a pomáhá zpomalit zhoršování svalové slabosti u osob s tímto onemocněním.

Jaké přínosy přípravku Kygeggi byly prokázány v průběhu studií?

Dospělým a dětem s deficitem thymidinkinázy 2 potvrzeným genetickým testem, u nichž se příznaky onemocnění poprvé objevily ve věku 12 let nebo dříve, umožnila léčba přípravkem Kygeggi znovu dosáhnout motorických milníků.

Vzhledem k tomu, že deficit thymidinkinázy 2 je vzácné onemocnění, existuje příliš málo pacientů na to, aby bylo možné provést studii, která by porovnála přípravek Kygeggi s jinou léčbou nebo s placebem (neúčinným přípravkem). Účinky přípravku Kygeggi byly proto hodnoceny na základě zdravotnické dokumentace pacientů a výsledků studie, ve které byl všem pacientům podáván přípravek Kygeggi. Do hodnocení bylo zařazeno celkem 39 pacientů, jejichž příznaky se poprvé objevily ve věku 12 let nebo dříve.

Účinek léčby byl hodnocen porovnáním motorických milníků, jako je schopnost sedět, stát nebo chodit, před zahájením léčby přípravkem Kygeggi a po jejím zahájení. Během léčby znovu dosáhlo alespoň jednoho motorického milníku přibližně 84 % (26 z 31) pacientů, zatímco nejméně jeden motorický milník ztratilo přibližně 26 % (10 z 38) pacientů.

Jaké jsou nežádoucí účinky a omezení přípravku Kygeggi?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Kygeggi je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Kygeggi (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou průjem, zvracení a bolest břicha.

Na základě čeho byl přípravek Kygeggi registrován v EU?

V době registrace nebyla pro deficit thymidinkinázy 2 schválena žádná léčba a péče byla omezena na podpurná opatření, mezi něž patřilo poskytování výživy výživovou sondou, podpora pohybu pomocí fyzioterapie a podpora dýchání pomocí ventilátoru.

Bylo prokázáno, že přípravek Kygeggi umožňuje pacientům, jejichž příznaky se poprvé objevily ve věku 12 let nebo dříve, znovu dosáhnout motorických milníků. Přestože panovala určitá nejistota ohledně rozsahu účinku, motorické milníky jsou při přirozeném průběhu onemocnění znovu dosaženy vzácně. Je proto pravděpodobné, že motorické milníky byly znovu dosaženy díky léčbě přípravkem Kygeggi. Z dostupných údajů nebylo možné prokázat, zda má přípravek Kygeggi vliv na délku života pacientů. Pokud jde o tyto nejistoty, další studie poskytnou více informací.

Nejčastější nežádoucí účinky se týkaly střev a byly považovány za zvladatelné.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Kygeggi převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravek Kygeggi byl registrován za výjimečných okolností, neboť vzhledem ke vzácné povaze onemocnění nebylo možné o přípravku Kygeggi získat úplné informace. Společnost musí poskytnout další údaje o přípravku Kygeggi. Musí předložit výsledky nové studie k potvrzení bezpečnosti a účinnosti přípravku. Agentura EMA každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Kygeevi?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Kygeevi, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Kygeevi průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Kygeevi jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Kygeevi

Další informace o přípravku Kygeevi jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygeevi.