



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pyrukynd (*mitapivat*)

Přehled pro přípravek Pyrukynd a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Pyrukynd a k čemu se používá?

Pyrukynd je léčivý přípravek používaný k léčbě dospělých s deficitem pyruvátkinázy, což je dědičné onemocnění, které způsobuje rychlejší rozpad červených krvinek, než je normální.

Deficit pyruvátkinázy je vzácné onemocnění a přípravek Pyrukynd byl označen dne 22. dubna 2020 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete zde: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Přípravek Pyrukynd obsahuje léčivou látku mitapivat.

Jak se přípravek Pyrukynd používá?

Výdej přípravku Pyrukynd je vázán na lékařský předpis. Je k dispozici ve formě tablet a užívá se ústy. Doporučená počáteční dávka je jedna 5mg tableta užívaná dvakrát denně. Dávku lze zvyšovat každé čtyři týdny na základě hladiny hemoglobinu (bílkoviny v červených krvinkách, která v těle přenáší kyslík) a toho, zda pacient v posledních osmi týdnech potřeboval transfuzi. Maximální doporučená dávka přípravku Pyrukynd je 50 mg dvakrát denně.

Pokud je nutné léčbu přerušit nebo úplně ukončit, dávka přípravku Pyrukynd by měla být postupně snižována po dobu jednoho až dvou týdnů.

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

Jak přípravek Pyrukynd působí?

Pacienti s deficitem pyruvátkinázy mají poškozenou formu pyruvátkinázy, což je bílkovina v červených krvinkách, která přeměňuje glukózu na energii. V důsledku toho červené krvinky nedokáží vytvářet dostatek energie k udržení svého tvaru, což vede k jejich rozpadu před tím, než má tělo čas je nahradit. Tento nadměrný rozpad červených krvinek je známý jako hemolytická anémie.

Léčivá látka v přípravku Pyrukynd, mitapivat, se váže na pyruvátkinázu a aktivuje ji, čímž způsobuje její účinnější působení a zabraňuje tak příliš rychlému rozpadu červených krvinek pacientů.

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



Jaké přínosy přípravku Pyrukynd byly prokázány v průběhu studií?

Přínosy přípravku Pyrukynd byly hodnoceny ve dvou hlavních studiích. V první studii, do které bylo zařazeno 80 pacientů s deficitem pyruvátkinázy, kterým nebyla pravidelně podávána krevní transfuze, byl přípravek Pyrukynd porovnáván s placebem (neúčinným přípravkem). V této studii bylo zvýšení hladiny hemoglobinu o 1,5 g/dl a její zachování i při dvou nebo více kontrolách provedených po 16, 20 a 24 týdnech léčby zaznamenáno u 40 % pacientů léčených přípravkem Pyrukynd, zatímco u pacientů užívajících placebo nebyl tento výsledek zaznamenán u žádného z nich.

Ve druhé studii, do které bylo zařazeno 27 pacientů, kterým byla pravidelně podávána krevní transfuze, nebyl přípravek Pyrukynd porovnáván s placebem ani jinými léčivými přípravky. V této studii se objem červených krvinek podávaných v rámci transfuzí snížil o více než třetinu u 37 % pacientů.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Pyrukynd?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Pyrukynd (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou insomnie (nespavost), nauzea (pocit na zvracení) a snížená hladina hormonu estronu zaznamenaná v krevních testech u pacientů mužského pohlaví.

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

Na základě čeho byl přípravek Pyrukynd registrován v EU?

Možnosti léčby pacientů s deficitem pyruvátkinázy jsou omezené, neboť léčba tohoto onemocnění je omezena na podpůrnou léčbu, jejímž cílem je zmírnění příznaků a komplikací spojených s hemolytickou anémií. I přes určitá omezení spojená s hlavními studiemi bylo prokázáno, že přípravek Pyrukynd má pro některé pacienty s deficitem pyruvátkinázy klinicky významný přínos, a to v podobě zvýšení hladiny hemoglobinu a snížení potřeby transfuzí. Dospělo se proto k závěru, že přípravek Pyrukynd řeší u těchto pacientů nenaplněnou léčebnou potřebu.

Nežádoucí účinky přípravku Pyrukynd jsou navíc považovány za zvladatelné. Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Pyrukynd převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

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

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

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

Další informace o přípravku Pyrukynd

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