



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kygevvi (doxecitin/doxribtimin)

En oversigt over Kygevvi, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Kygevvi, og hvad anvendes det til?

Kygevvi er et lægemiddel til behandling af personer med thymidinkinase 2-mangel (TK2d), der er bekræftet ved en gentest, og hvis symptomer på sygdommen begyndte, da de var 12 år eller derunder. TK2d er en tilstand, der skyldes mutationer (ændringer) i TK2-genet, som medfører tiltagende muskelsvaghed, tab af evnen til at bevæge sig og gå, vejrtrækningsbesvær og en kortere forventet levetid.

TK2d er sjælden, og Kygevvi blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 20. april 2017. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme på EMA's [websted](#).

Kygevvi indeholder de aktive stoffer doxecitin og doxribtimin.

Hvordan anvendes Kygevvi?

Kygevvi fås kun på recept, og behandlingen bør overvåges af en læge med erfaring inden for sygdomme, der påvirker mitokondrierne, som er de energiproducerende bestanddele i cellerne.

Kygevvi fås som et pulver, der blandes i vand og indtages gennem munden tre gange dagligt.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Kygevvi, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Kygevvi?

TK2-enzymet er med til at producere og vedligeholde DNA'et i mitokondriet. Hos personer med TK2d forhindrer mutationer i TK2 det i at fungere korrekt. Derfor virker mitokondrierne ikke, som de skal, og musklerne kan ikke producere tilstrækkelig energi, hvilket medfører tiltagende muskelsvækkelse.

Den måde, Kygevvi virker på hos mennesker, er ikke blevet bekræftet. Dyreforsøg tyder imidlertid på, at de aktive stoffer, doxecitin og doxribtimin (DNA-byggesten), optages af muskelceller og bliver en del af mitokondrielt DNA. Dette er med til at forbedre produktionen og vedligeholdelsen af mitokondrielt DNA. På denne måde forventes Kygevvi at kompensere for den ringere TK2-aktivitet og bidrage til at bremse forværringen af muskelsvagheden hos personer med sygdommen.

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



Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Kygevvi?

Hos voksne og børn med TK2d, der er bekræftet ved gentestning, hvis symptomer på sygdommen begyndte i alderen 12 år eller derunder, gjorde behandlingen med Kygevvi det muligt at genvinde motoriske milepæle.

Da TK2d er en sjælden sygdom, er der for få patienter til at gennemføre et studie, hvor Kygevvi sammenlignes med en anden behandling eller med placebo (en uvirksom behandling). Virkningerne af Kygevvi blev derfor vurderet ved at se på patientjournalerne og på resultaterne af et studie, hvor alle patienter fik Kygevvi. Vurderingen omfattede i alt 39 patienter, hvis symptomer startede, da de var 12 år eller derunder.

Virkningen af behandlingen blev vurderet ved at sammenligne motoriske milepæle såsom evnen til at sidde, stå eller gå, før og efter påbegyndelsen af behandlingen med Kygevvi. Under behandlingen genvandt ca. 84 % af patienterne (26 ud af 31) mindst én motorisk milepæl, mens ca. 26 % (10 ud af 38) mistede mindst én motorisk milepæl.

Hvilke bivirkninger og begrænsninger er der forbundet med Kygevvi?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Kygevvi fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Kygevvi (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er diarré, opkastning og mavesmerter.

Hvorfor er Kygevvi godkendt i EU?

På godkendelsestidspunktet var der ingen godkendt behandling for TK2d, og plejen var begrænset til støttebehandling. Denne består i at tilføre næring gennem en madsonde, fysioterapi til at støtte bevægelse og hjælp til vejrtrækning med en ventilator.

Det er påvist, at Kygevvi giver patienter, hvis symptomer på sygdommen begyndte at vise sig i alderen 12 år og derunder, mulighed for at genvinde motoriske milepæle. Selvom der var en vis usikkerhed med hensyn til virkningens omfang, er det sjældent, at patienter genopnår motoriske milepæle i sygdommens naturlige forløb. Det er derfor sandsynligt, at genopnåelsen af de motoriske milepæle skyldtes behandling med Kygevvi. De tilgængelige data kunne ikke vise, om Kygevvi har nogen virkning på patienternes levetid. Yderligere studier vil give flere oplysninger om disse usikkerheder.

De mest almindelige bivirkninger vedrørte tarmen og blev anset for at være håndterbare.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Kygevvi opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Kygevvi er blevet godkendt under særlige omstændigheder. Det skyldes, at det grundet sygdommens sjældenhed ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Kygevvi. Virksomheden skal fremlægge yderligere data om Kygevvi. Virksomheden skal fremlægge resultaterne af et nyt studie for at bekræfte lægemidlets sikkerhed og virkning. Hvert år gennemgår EMA alle nye oplysninger, der bliver tilgængelige.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Kygevvi anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Kygevvi anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Kygevví løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Kygevví vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Kygevví

Der findes mere information om Kygevví på agenturets websted:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevví.