



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pyrukynd (*mitapivat*)

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

Hvad er Pyrukynd, og hvad anvendes det til?

Pyrukynd er et lægemiddel til behandling af voksne med pyruvatkinasemangel (PKD), en arvelig sygdom, der får de røde blodlegemer til at nedbrydes hurtigere end normalt.

PKD er sjælden, og Pyrukynd blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 22. april 2020. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme kan findes her: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Pyrukynd indeholder det aktive stof mitapivat.

Hvordan anvendes Pyrukynd?

Pyrukynd fås kun på recept. Det findes som tabletter, der tages gennem munden. Den anbefalede startdosis er én 5 mg-tablet to gange dagligt. Dosen kan øges hver fjerde uge på grundlag af patientens hæmoglobinindhold i blodet (det protein i de røde blodlegemer, som transporterer ilt rundt i kroppen) og behovet for en transfusion i de foregående 8 uger. Den maksimale anbefalede dosis af Pyrukynd er 50 mg to gange dagligt.

Hvis der er behov for at afbryde eller helt stoppe behandlingen, bør dosen af Pyrukynd reduceres gradvist over en periode på 1-2 uger.

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

Hvordan virker Pyrukynd?

Patienter med PKD har en defekt form af pyruvatkinase, der er et protein i de røde blodlegemer, som omdanner glukose til energi. Deres røde blodlegemer kan dermed ikke producere tilstrækkelig energi til at holde formen, og de nedbrydes derfor, før kroppen har mulighed for at udskifte dem. Denne overdrevne nedbrydning af røde blodlegemer kaldes hæmolytisk anæmi.

Det aktive stof i Pyrukynd, mitapivat, binder sig til og aktiverer pyruvatkinase og gør det mere effektivt. Dette forhindrer, at disse patienters røde blodlegemer nedbrydes for hurtigt.

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 Pyrukynd?

Fordelene ved Pyrukynd blev vurderet i to hovedstudier. I det første studie, der omfattede 80 patienter med PKD, som ikke regelmæssigt fik blodtransfusioner, blev Pyrukynd sammenlignet med placebo (en uvirksom behandling). I dette studie oplevede 40 % af de patienter, der blev behandlet med Pyrukynd, en stigning i deres hæmoglobinniveau på 1,5 g/dl, som holdt sig over to eller flere kontroller udført efter 16, 20 og 24 ugers behandling, sammenlignet med ingen af de patienter, der blev behandlet med placebo.

I det andet studie, der omfattede 27 patienter, som regelmæssigt fik blodtransfusioner, blev Pyrukynd ikke sammenlignet med placebo eller andre lægemidler. I dette studie blev mængden af røde blodlegemer, patienterne fik gennem transfusioner, reduceret med mere end en tredjedel hos 37 % af patienterne.

Hvilke risici er der forbundet med Pyrukynd?

De hyppigste bivirkninger ved Pyrukynd (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er søvnbesvær, kvalme og for lavt niveau af hormonet østron i blodprøver hos mandlige patienter.

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

Hvorfor er Pyrukynd godkendt i EU?

Der er begrænsede behandlingsmuligheder for patienter med PKD, da behandlingen af sygdommen er begrænset til understøttende behandlinger for at forbedre de symptomer og komplikationer, der er forbundet med hæmolytisk anæmi. Selvom der var visse begrænsninger i hovedstudierne, har Pyrukynd vist sig at give klinisk betydningsfulde fordele for nogle patienter med PKD ved at øge hæmoglobinniveauet og mindske behovet for transfusioner. Det blev derfor vurderet, at Pyrukynd opfyldte et udækket medicinsk behov hos disse patienter.

Desuden anses bivirkningerne ved Pyrukynd for at kunne håndteres. Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Pyrukynd opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Pyrukynd?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Pyrukynd.

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

Andre oplysninger om Pyrukynd

Yderligere information om Pyrukynd findes på agenturets websted under:

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