



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kygevvi (Doxecitin / Doxribtimin)

Übersicht über Kygevvi und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Kygevvi und wofür wird es angewendet?

Kygevvi ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Personen mit Thymidinkinase-2-Mangel (TK2d), der durch einen genetischen Test bestätigt wurde, und bei denen die Symptome der Erkrankung im Alter von 12 Jahren oder früher begannen. TK2d ist eine Erkrankung, die durch Mutationen (Veränderungen) im *TK2* -Gen verursacht wird, die zu fortschreitender Muskelschwäche, einem Verlust der Bewegungs- und Gehfähigkeit, Atembeschwerden und einer verkürzten Lebenserwartung führen.

TK2d ist selten, und Kygevvi wurde am 20. April 2017 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den [Internetseiten](#) der EMA.

Kygevvi enthält die Wirkstoffe Doxecitin und Doxribtimin.

Wie wird Kygevvi angewendet?

Kygevvi ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem Arzt überwacht werden, der Erfahrung mit Erkrankungen hat, die die Mitochondrien, die energieerzeugenden Teile der Zellen, betreffen.

Kygevvi ist als Pulver, das mit Wasser vermischt dreimal täglich eingenommen wird erhältlich.

Weitere Informationen zur Anwendung von Kygevvi entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Kygevvi?

Das TK2-Enzym trägt zur Produktion und Instandhaltung der DNA in den Mitochondrien bei. Bei Patienten mit TK2d verhindern Mutationen von TK2 dessen reibungsloses Funktionieren. Infolgedessen arbeiten die Mitochondrien nicht so, wie sie sollten, und die Muskeln können nicht genügend Energie produzieren, was zu einer fortschreitenden Muskelschwäche führt.

Die Wirkweise von Kygevvi bei Menschen wurde nicht bestätigt. Studien mit Tieren deuten jedoch darauf hin, dass seine Wirkstoffe, Doxecitin und Doxribtimin (DNA-Bausteine), von Muskelzellen aufgenommen und Teil der mitochondrialen DNA werden. Dies trägt zur Verbesserung der Produktion und Instandhaltung der mitochondrialen DNA bei. Es wird erwartet, dass Kygevvi auf diese Weise die

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



verminderte TK2-Aktivität kompensiert und dazu beiträgt, die Verschlechterung der Muskelschwäche bei Personen mit der Erkrankung zu verlangsamen.

Welchen Nutzen hat Kygevv in den Studien gezeigt?

Bei Erwachsenen und Kindern mit TK2d, der durch Gentests bestätigt wurde und dessen Symptome der Erkrankung im Alter von 12 Jahren oder früher begannen, ermöglichte die Behandlung mit Kygevv es den Menschen, motorische Meilensteine wieder zu erreichen.

Da es sich bei TK2d um eine seltene Erkrankung handelt, gibt es zu wenige Patienten, um eine Studie durchzuführen, in der Kygevv mit einer anderen Behandlung oder mit Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen wird. Die Wirkungen von Kygevv wurden daher anhand der Krankenakten der Patienten und der Ergebnisse einer Studie beurteilt, in der alle Patienten Kygevv erhielten. Insgesamt wurden 39 Patienten, deren Symptome im Alter von 12 Jahren oder früher begannen, in die Bewertung einbezogen.

Die Wirkung der Behandlung wurde durch den Vergleich motorischer Meilensteine wie z. B. der Fähigkeit zu sitzen, zu stehen oder zu gehen vor und nach Beginn der Behandlung mit Kygevv beurteilt. Während der Behandlung erreichten etwa 84 % der Patienten (26 von 31) mindestens einen motorischen Meilenstein wieder, während etwa 26 % (10 von 38) mindestens einen motorischen Meilenstein verloren.

Welche Nebenwirkungen und Einschränkungen sind mit Kygevv verbunden?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Kygevv ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Kygevv (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Durchfall, Erbrechen und Bauchschmerzen.

Warum wurde Kygevv in der EU zugelassen?

Zum Zeitpunkt der Zulassung gab es keine zugelassene Behandlung für TK2d, und die Versorgung beschränkte sich auf unterstützende Maßnahmen. Dazu gehörten die Ernährung über ein Ernährungssonde, Physiotherapie zur Unterstützung der Bewegung und die Atemunterstützung durch ein Beatmungsgerät.

Für Kygevv wurde nachgewiesen, dass es Patienten, bei denen die Symptome der Erkrankung im Alter von 12 Jahren oder früher einsetzten, ermöglichte, die motorischen Meilensteine wieder zu erreichen. Obwohl eine gewisse Unsicherheit hinsichtlich des Umfangs der Wirkung bestand, ist die Wiedererreichung motorischer Meilensteine im natürlichen Verlauf der Erkrankung selten. Es ist daher wahrscheinlich, dass die Wiedererreichung der motorischen Meilensteine auf die Behandlung mit Kygevv zurückzuführen war. Anhand der verfügbaren Daten konnte nicht gezeigt werden, ob Kygevv Auswirkungen auf die Überlebenszeit der Patienten hat. Weitere Studien werden weitere Informationen liefern, um diese Unsicherheiten auszuräumen.

Die häufigsten Nebenwirkungen betrafen den Darm und wurden als beherrschbar erachtet.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Kygevv gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Kygevvı wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über Kygevvı zu erlangen. Das Unternehmen muss weitere Daten zu Kygevvı vorlegen. Es muss die Ergebnisse einer neuen Studie vorlegen, um die Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels zu bestätigen. Die Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Kygevvı ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Kygevvı, die von medizinischen Fachkräften und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Kygevvı kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Kygevvı werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Kygevvı

Weitere Informationen zu Kygevvı finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

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