



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pyrukynd (*Mitapivat*)

Übersicht über Pyrukynd und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Pyrukynd und wofür wird es angewendet?

Pyrukynd ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Erwachsenen mit Pyruvatkinase-Mangel (PK-Mangel), einer Erbkrankheit, die dazu führt, dass rote Blutkörperchen schneller als normal abgebaut werden.

PK-Mangel ist „selten“, und Pyrukynd wurde am 22. April 2020 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden sich hier: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Pyrukynd enthält den Wirkstoff Mitapivat.

Wie wird Pyrukynd angewendet?

Pyrukynd ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Es ist in Form von Tabletten erhältlich, die oral (durch den Mund) einzunehmen sind. Die empfohlene Anfangsdosis beträgt eine 5-mg-Tablette zweimal täglich. Die Dosis kann alle vier Wochen in Abhängigkeit vom Hämoglobinspiegel des Patienten (Hämoglobin ist das Protein in den roten Blutkörperchen, das Sauerstoff durch den Körper transportiert) und dem Bedarf an einer Transfusion in den vorangegangenen 8 Wochen erhöht werden. Die empfohlene Höchstdosis von Pyrukynd beträgt 50 mg zweimal täglich.

Wenn die Behandlung unterbrochen oder ganz abgebrochen werden muss, sollte die Pyrukynd-Dosis über einen Zeitraum von 1 bis 2 Wochen schrittweise reduziert werden.

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

Wie wirkt Pyrukynd?

Patienten mit PK-Mangel haben eine defekte Form von Pyruvatkinase, einem Protein in roten Blutkörperchen, das Glukose in Energie umwandelt. Dies hat zur Folge, dass bei diesen Patienten die roten Blutkörperchen nicht genügend Energie produzieren können, um ihre Form zu erhalten, was wiederum dazu führt, dass sie zerfallen, bevor der Körper Zeit hat, sie zu ersetzen. Dieser übermäßige Abbau roter Blutkörperchen wird als hämolytische Anämie bezeichnet.

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



Der Wirkstoff in Pyrukynd, Mitapivat, bindet an die Pyruvatkinase und aktiviert sie, wodurch sie besser wirkt und verhindert, dass die roten Blutkörperchen zu schnell abgebaut werden.

Welchen Nutzen hat Pyrukynd in den Studien gezeigt?

Der Nutzen von Pyrukynd wurde in zwei Hauptstudien untersucht. In der ersten Studie, an der 80 Patienten mit PK-Mangel teilnahmen, die nicht regelmäßig Bluttransfusionen erhielten, wurde Pyrukynd mit Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen. In dieser Studie wiesen 40 % der mit Pyrukynd behandelten Patienten einen Anstieg ihres Hämoglobinspiegels um 1,5 g/dl auf, der bei mindestens 2 Kontrolluntersuchungen nach 16, 20 und 24 Behandlungswochen aufrechterhalten wurde, verglichen mit keinem der mit Placebo behandelten Patienten.

In der zweiten Studie, an der 27 Patienten teilnahmen, die regelmäßig Bluttransfusionen erhielten, wurde Pyrukynd nicht mit Placebo oder anderen Arzneimitteln verglichen. In dieser Studie verringerte sich die Menge an roten Blutkörperchen, die bei den Transfusionen gegeben wurde, bei 37 % der Patienten um mehr als ein Drittel.

Welche Risiken sind mit Pyrukynd verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Pyrukynd (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Schlaflosigkeit, Übelkeit und verminderte Spiegel des Hormons Östron im Blut männlicher Patienten.

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

Warum wurde Pyrukynd in der EU zugelassen?

Es gibt begrenzte Behandlungsoptionen für Patienten mit PK-Mangel, da die Behandlung der Erkrankung auf unterstützende Behandlungen zur Linderung der Symptome und Komplikationen der hämolytischen Anämie beschränkt ist. Wenngleich einige Einschränkungen im Zusammenhang mit den Hauptstudien zu Tage traten, wurde gezeigt, dass Pyrukynd einigen Patienten mit PK-Mangel einen klinisch bedeutsamen Nutzen bringt, indem es die Hämoglobinwerte erhöht und den Transfusionsbedarf verringert. Daher gelangte man zu der Auffassung, dass Pyrukynd einen ungedeckten medizinischen Bedarf bei diesen Patienten deckt.

Darüber hinaus werden die Nebenwirkungen von Pyrukynd als beherrschbar angesehen. Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Pyrukynd gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

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

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Pyrukynd, die von Angehörigen der Gesundheitsberufe 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 Pyrukynd kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Pyrukynd werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Pyrukynd

Weitere Informationen zu Pyrukynd finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd.