



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pyrukynd (μιταπιβάτη)

Ανασκόπηση του Pyrukynd και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Pyrukynd και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Pyrukynd είναι φάρμακο που ενδείκνυται για τη θεραπεία της ανεπάρκειας της πυροσταφυλικής κινάσης (ανεπάρκεια της ΡΚ) σε ενήλικες, μιας κληρονομικής νόσου που προκαλεί καταστροφή ερυθρών αιμοσφαιρίων με ρυθμούς ταχύτερους από τους φυσιολογικούς.

Η ΡΚΔ είναι «σπάνια» νόσος και το Pyrukynd χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 22 Απριλίου 2020. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε εδώ:

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Το Pyrukynd περιέχει τη δραστική ουσία μιταπιβάτη.

Πώς χρησιμοποιείται το Pyrukynd;

Το Pyrukynd χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Διατίθεται υπό μορφή δισκίων για χορήγηση από το στόμα. Η συνιστώμενη δόση έναρξης είναι ένα δισκίο των 5 mg χορηγούμενο δύο φορές την ημέρα. Η δόση μπορεί να αυξάνεται κάθε τέσσερις εβδομάδες, με βάση τα επίπεδα αιμοσφαιρίνης του ασθενούς (της πρωτεΐνης των ερυθρών αιμοσφαιρίων που μεταφέρει οξυγόνο σε ολόκληρο τον οργανισμό) και της ανάγκης του για μετάγγιση κατά τις προηγούμενες 8 εβδομάδες. Η μέγιστη συνιστώμενη δόση του Pyrukynd είναι 50 mg δύο φορές την ημέρα.

Εάν η θεραπεία πρέπει να διακοπεί προσωρινά ή οριστικά, η δόση του Pyrukynd θα πρέπει να μειωθεί σταδιακά σε διάστημα 1 έως 2 εβδομάδων.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Pyrukynd, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Pyrukynd;

Στους ασθενείς με ΡΚΔ, η μορφή της πυροσταφυλικής κινάσης, μιας πρωτεΐνης που υπάρχει στα ερυθρά αιμοσφαίρια και η οποία μετατρέπει τη γλυκόζη σε ενέργεια, είναι ελαττωματική. Ως εκ τούτου, τα ερυθρά τους αιμοσφαίρια δεν μπορούν να παράγουν αρκετή ενέργεια ώστε να διατηρήσουν το σχήμα τους, με αποτέλεσμα να διασπώνται προτού προλάβει ο οργανισμός να τα αντικαταστήσει. Αυτή η υπερβολική διάσπαση των ερυθρών αιμοσφαιρίων είναι γνωστή ως αιμολυτική αναιμία.

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



Η δραστική ουσία του Rgukynnd, η μιταπιβάτη, προσκολλάται και ενεργοποιεί την πυροσταφυλική κινάση με αποτέλεσμα την μεγαλύτερη δράση της και, ως εκ τούτου, την πρόληψη της υπερβολικά γρήγορης διάσπασης των ερυθρών αιμοσφαιρίων στους συγκεκριμένους ασθενείς.

Ποια είναι τα οφέλη του Rgukynnd σύμφωνα με τις μελέτες;

Τα οφέλη του Rgukynnd αξιολογήθηκαν σε δύο κύριες μελέτες. Στην πρώτη μελέτη, στην οποία μετείχαν 80 ασθενείς με PKD που δεν υποβάλλονταν τακτικά σε μεταγγίσεις αίματος, το Rgukynnd συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Στην εν λόγω μελέτη, το 40% των ασθενών που έλαβαν Rgukynnd παρουσίασαν αύξηση των επιπέδων αιμοσφαιρίνης της τάξης του 1,5 g/dL, η οποία διατηρήθηκε σε 2 ή περισσότερους επανελέγχους που διενεργήθηκαν μετά από 16, 20 και 24 εβδομάδες θεραπείας, σε σύγκριση με κανέναν από τους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο.

Στη δεύτερη μελέτη, στην οποία μετείχαν 27 ασθενείς που υποβάλλονταν τακτικά σε μεταγγίσεις αίματος, το Rgukynnd δεν συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο ή κάποιο άλλο φάρμακο. Στην εν λόγω μελέτη, ο όγκος των ερυθρών αιμοσφαιρίων που ελήφθησαν κατά τις μεταγγίσεις μειώθηκε κατά περισσότερο από ένα τρίτο στο 37 % των ασθενών.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Rgukynnd;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Rgukynnd (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι αϋπνία (δυσκολία στον ύπνο), ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας) και μειωμένα επίπεδα της ορμόνης οιστρονής τα οποία παρατηρήθηκαν στις εξετάσεις αίματος ανδρών ασθενών.

Για τον πλήρη κατάλογο όλων των ανεπιθύμητων ενεργειών που έχουν αναφερθεί με το Rgukynnd, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Rgukynnd στην ΕΕ;

Οι θεραπευτικές επιλογές για τους ασθενείς με PKD είναι περιορισμένες, καθώς η διαχείριση της νόσου περιορίζεται σε υποστηρικτικές θεραπείες για τη βελτίωση των συμπτωμάτων και των επιπλοκών που συνδέονται με την αιμολυτική αναιμία. Παρόλο που υπήρξαν ορισμένοι περιορισμοί που σε σχέση με τις κύριες μελέτες, το Rgukynnd αποδείχθηκε ότι παρέχει κλινικά σημαντικά οφέλη σε ορισμένους ασθενείς με PKD, αυξάνοντας τα επίπεδα αιμοσφαιρίνης και μειώνοντας την ανάγκη για μεταγγίσεις. Ως εκ τούτου, θεωρήθηκε ότι το Rgukynnd ανταποκρίθηκε σε μια ιατρική ανάγκη που δεν έχει αντιμετωπιστεί για τους συγκεκριμένους ασθενείς.

Επιπλέον, οι ανεπιθύμητες ενέργειες του Rgukynnd θεωρούνται διαχειρίσιμες. Συνεπώς, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Rgukynnd υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Rgukynnd;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Rgukynnd.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Rgukynnd τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Rgukynnd αξιολογούνται προσεκτικά και λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Pyrukynd

Περισσότερες πληροφορίες για το Pyrukynd διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd