



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kygevvi (doxecitina/doxribtimina)

Información general en lenguaje claro sobre Kygevvi y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Kygevvi y para qué se utiliza?

Kygevvi es un medicamento que se utiliza para tratar a pacientes con deficiencia de timidina quinasa 2 (TK2d) confirmada genéticamente con una edad de inicio de los síntomas igual o anterior a los 12 años. La TK2d es una enfermedad causada por mutaciones (cambios) en el gen *TK2* que dan lugar a debilidad muscular progresiva, pérdida de la capacidad para moverse y caminar, dificultades respiratorias y reducción de la esperanza de vida.

La TK2d es una enfermedad rara y Kygevvi fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 20 de abril de 2017. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en el [sitio web](#) de la EMA.

Kygevvi contiene los principios activos doxecitina y doxribtimina.

¿Cómo se usa Kygevvi?

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe ser supervisado por un médico con experiencia en enfermedades que afectan a las mitocondrias, los componentes que producen energía dentro de las células.

Kygevvi se presenta en forma de polvo para mezclar con agua y tomar por vía oral tres veces al día.

Si desea más información sobre el uso de Kygevvi, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Kygevvi?

La enzima TK2 ayuda a producir y mantener el ADN dentro de las mitocondrias. En los pacientes con TK2d, las mutaciones en TK2 impiden que esta funcione correctamente. Como consecuencia de ello, las mitocondrias no funcionan como deberían y los músculos no pueden producir suficiente energía, lo que da lugar a una debilidad muscular progresiva.

No se ha confirmado el modo de acción de Kygevvi en los pacientes. Sin embargo, los estudios con animales sugieren que sus principios activos, la doxecitina y la doxribtimina (componentes

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



constitutivos del ADN), son absorbidos por las células musculares y pasan a formar parte del ADN mitocondrial, lo que ayuda a mejorar la producción y el mantenimiento del ADN mitocondrial. De este modo, se espera que Kygevví compense la reducción de la actividad de la TK2 y contribuya a ralentizar el empeoramiento de la debilidad muscular en pacientes con esta enfermedad.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Kygevví en los estudios realizados?

En adultos y niños con TK2d confirmada genéticamente con una edad de inicio de los síntomas igual o anterior a los 12 años, el tratamiento con Kygevví permitió que los pacientes recuperaran hitos del desarrollo motor.

Dado que la TK2d es una enfermedad rara, hay muy pocos pacientes para realizar un estudio de comparación de Kygevví con otro tratamiento o con un placebo (un tratamiento ficticio). Por lo tanto, los efectos de Kygevví se evaluaron examinando las historias clínicas de los pacientes y los resultados de un estudio en el que todos los pacientes recibieron Kygevví. En total, se incluyeron en la evaluación 39 pacientes con una edad de inicio de los síntomas igual o anterior a los 12 años.

El efecto del tratamiento se evaluó comparando hitos del desarrollo motor, tales como la capacidad de sentarse, ponerse de pie o caminar, antes y después de comenzar el tratamiento con Kygevví. Durante el tratamiento, alrededor del 84 % de los pacientes (26 de 31) recuperaron al menos un hito del desarrollo motor, mientras que alrededor del 26 % (10 de 38) perdieron al menos un hito del desarrollo motor.

¿Cuáles son los efectos adversos y las restricciones de Kygevví?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Kygevví se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Kygevví (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son diarrea, vómitos y dolor en el abdomen (vientre).

¿Por qué se ha autorizado Kygevví en la UE?

En el momento de la autorización, no había ningún tratamiento autorizado para la TK2d y el tratamiento se limitaba a medidas de apoyo. Entre ellas se incluían la alimentación a través de sonda, fisioterapia para facilitar el movimiento y asistencia respiratoria mediante un respirador.

Kygevví demostró que permitía recuperar hitos del desarrollo motor a los pacientes con una edad de inicio de los síntomas igual o anterior a los 12 años. Si bien hubo cierta incertidumbre sobre la magnitud del efecto, la recuperación de hitos del desarrollo motor es rara en el curso natural de la enfermedad. Por lo tanto, es probable que la recuperación de los hitos del desarrollo motor se deba al tratamiento con Kygevví. Los datos disponibles no permitieron determinar si Kygevví afecta a la esperanza de vida de los pacientes. Los estudios futuros proporcionarán más información para abordar estas incertidumbres.

Los efectos adversos más frecuentes estuvieron relacionados con el tubo gastrointestinal y se consideraron controlables.

Por tanto, la Agencia consideró que los beneficios de Kygevví eran mayores que los riesgos identificados y recomendó autorizar su uso en la UE.

Kygevví ha sido autorizado en circunstancias excepcionales. Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Kygevví debido a la rareza de la enfermedad. La compañía debe

proporcionar más información sobre Kygevví. Debe presentar los resultados de un nuevo estudio para confirmar la seguridad y la eficacia del medicamento. La EMA revisará anualmente la información nueva que esté disponible.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Kygevví?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Kygevví se han incluido en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Kygevví se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Kygevví se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Kygevví

Puede encontrar más información sobre Kygevví en el sitio web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevví.