



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pyrukynd (*mitapivat*)

Información general sobre Pyrukynd y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Pyrukynd y para qué se utiliza?

Pyrukynd es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de la deficiencia de piruvato quinasa (deficiencia de PK) en adultos, una enfermedad hereditaria que hace que los glóbulos rojos se descompongan más rápido de lo normal.

La deficiencia de PK es una enfermedad «rara», y Pyrukynd fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 22 de abril de 2020. Puede encontrar información adicional sobre las designaciones como medicamento huérfano en:

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

Pyrukynd contiene el principio activo mitapivat.

¿Cómo se usa Pyrukynd?

Pyrukynd solo se podrá dispensar con receta médica. Se presenta en comprimidos para tomar por vía oral. La dosis inicial recomendada es de un comprimido de 5 mg dos veces al día. La dosis puede aumentarse cada cuatro semanas en función de los niveles de hemoglobina (la proteína de los glóbulos rojos que transporta el oxígeno por el organismo) del paciente y de si ha necesitado una transfusión en las 8 semanas anteriores. La dosis máxima recomendada de Pyrukynd es de 50 mg dos veces al día.

Si es necesario interrumpir o suspender completamente el tratamiento, la dosis de Pyrukynd deberá reducirse gradualmente a lo largo de un período de 1 a 2 semanas.

Para mayor información sobre el uso de Pyrukynd consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Pyrukynd?

Los pacientes con deficiencia de PK tienen una forma defectuosa de piruvato quinasa, una proteína presente en los glóbulos rojos que convierte la glucosa en energía. En consecuencia, los glóbulos rojos no pueden producir suficiente energía para mantener su forma, lo que hace que se descompongan antes de que el organismo tenga tiempo para sustituirlos. Esta excesiva descomposición de los glóbulos rojos se conoce como anemia hemolítica.

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



El principio activo de Pyrukynd, el mitapivat, se une a la piruvato quinasa y la activa, lo que hace que esta actúe con mayor eficacia y, por tanto, impida que los glóbulos rojos de estos pacientes se descompongan demasiado rápido.

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

Los beneficios de Pyrukynd se evaluaron en dos estudios principales. En el primer estudio, en el que participaron 80 pacientes con deficiencia de PK que no recibían transfusiones de sangre con regularidad, Pyrukynd se comparó con un placebo (tratamiento ficticio). En este estudio, el 40 % de los pacientes tratados con Pyrukynd presentaron un aumento de los niveles de hemoglobina de 1,5 g/dl, que se mantuvo en 2 o más controles realizados después de 16, 20 y 24 semanas de tratamiento, en comparación con ninguno de los pacientes tratados con placebo.

En el segundo estudio, en el que participaron 27 pacientes que recibían transfusiones de sangre con regularidad, Pyrukynd no se comparó con placebo ni con ningún otro medicamento. En este estudio, el volumen de glóbulos rojos recibido en transfusiones se redujo más de un tercio en el 37 % de los pacientes.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Pyrukynd?

Los efectos adversos más frecuentes de Pyrukynd (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son insomnio (dificultad para dormir), náuseas (ganas de vomitar) y disminución de los niveles de la hormona estrona en los análisis de sangre de pacientes varones.

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

¿Por qué se ha autorizado Pyrukynd en la UE?

Existen escasas opciones de tratamiento para los pacientes con deficiencia de PK, ya que la gestión de la enfermedad se limita a tratamientos de apoyo para mejorar los síntomas y las complicaciones asociadas a la anemia hemolítica. Aunque hubo algunas limitaciones asociadas a los estudios principales, se ha demostrado que Pyrukynd proporciona beneficios clínicamente significativos a algunos pacientes con deficiencia de PK, al aumentar los niveles de hemoglobina y reducir la necesidad de transfusiones. Por tanto, se consideró que Pyrukynd abordaba una necesidad médica no cubierta en estos pacientes.

Además, los efectos adversos de Pyrukynd se consideran controlables. Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos ha decidido que los beneficios de Pyrukynd son mayores que sus riesgos y ha recomendado autorizar su uso en la UE.

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

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Pyrukynd se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

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

Otra información sobre Pyrukynd

Puede encontrar información adicional sobre Pyrukynd en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd