



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kygevvi (doksetsitiin/doksribtimiin)

Ülevaade ravimist Kygevvi ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

### Mis on Kygevvi ja milleks seda kasutatakse?

Kygevvi on ravim, mida kasutatakse geneetilise testiga kinnitatud tümidiini kinaasi 2 vaegusega (TK2d) patsientide raviks, kellel algasid haiguse sümptomid kuni 12 aasta vanuses. TK2d on *TK2*-geeni mutatsioonidest (muutustest) põhjustatud seisund, mis põhjustab progresseeruvat lihassenõrkust, liikumis- ja kõndimisvõime kadu, hingamisraskusi ja eeldatava eluea lühenemist.

TK2d esineb harva ja Kygevvi nimetati 20. aprillil 2017 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on EMA [veebilehel](#).

Kygevvi sisaldab toimeaineid doksetsitiini ja doksribtimiini.

### Kuidas Kygevvit kasutatakse?

Kygevvi on retseptiravim. Ravi peab toimuma mitokondreid (rakkude energiat tootvaid komponente) mõjutavate seisundite ravis kogenud arsti järelevalve all.

Kygevvit turustatakse pulbrina, mis segatakse veega ja võetakse suu kaudu kolm korda ööpäevas.

Lisateavet Kygevvi kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

### Kuidas Kygevvi toimib?

TK2-ensüüm aitab toota ja säilitada DNAd mitokondrites. TK2d-ga patsientidel takistavad *TK2*-geeni mutatsioonid selle normaalset toimimist. Selle tulemusena ei toimi mitokondrid normaalselt ja lihased ei suuda toota piisavalt energiat, mis põhjustab progresseeruvat lihassenõrkust.

Kygevvi toimemehhanism inimestel ei ole kinnitatud. Loomuuringud viitavad siiski, et selle toimeained doksetsitiin ja doksribtimiin (DNA koostiselemendid) imenduvad lihaserakkudesse ja muutuvad mitokondriaalse DNA osaks. See aitab parendada mitokondriaalse DNA tootmist ja säilitamist. Sel viisil kompenseerib Kygevvi eeldatavasti TK2 aktiivsuse vähenemise ja aitab aeglustada lihassenõrkuse süvenemist selle seisundiga inimestel.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Mis on uuringute põhjal Kygevvi kasulikkus?

Geenitestiga kinnitatud TK2d-ga täiskasvanutel ja lastel, kellel algasid haiguse sümptomid kuni 12 aasta vanuses, võimaldas Kygevvi-ravi inimestel taastada mootorika vahe-eesmärgid.

Et TK2d on haruldane haigus, on liiga vähe patsiente, et teha uuring, milles võrreldakse Kygevvi muu ravimi või platseeboga (näiv ravim). Kygevvi toimet hinnati seepärast patsientide terviseandmete ja sellise uuringu tulemuste põhjal, milles kõik patsiendid said Kygevvi. Kokku kaasati hindamisse 39 patsienti, kelle sümptomid algasid kuni 12 aasta vanuses.

Ravi toimet hinnati, võrreldes enne ja pärast Kygevvi-ravi alustamist mootorika vahe-eesmärke, näiteks istumis-, seismis- või kõndimisvõimet. Ravi ajal saavutas vähemalt ühe mootorika vahe-eesmärgi ligikaudu 84% patsientidest (26 patsienti 31st) ja kaotas vähemalt ühe ligikaudu 26% patsientidest (10 patsienti 38st).

## Mis on Kygevvi kõrvalnähud ja piirangud?

Kygevvi kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Kygevvi kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on näiteks kõhulahtisus, oksendamine ja kõhuvalu.

## Miks Kygevvi ELis heaks kiideti?

Müügiloa andmise ajal ei olnud TK2d jaoks heaks kiidetud ravi ja ravi piirdus toetavate meetmetega. Need olid näiteks toitmine toitmissondi kaudu, füsioteraapia liikumise toetamiseks ja hingamistugi hingamisseadmega.

Tõendati, et Kygevvi võimaldab patsientidel, kelle haiguse sümptomid algasid kuni 12 aasta vanuses, taastada mootorika vahe-eesmärgid. Kuigi toime suuruse suhtes oli määramatusi, on mootorika vahe-eesmärkide taastumine looduslikku haiguskulgu arvestades haruldane. Seega on tõenäoline, et mootorika vahe-eesmärkide taastumine oli tingitud ravist Kygevviga. Olemasolevad andmed ei tõendanud, kas Kygevvi avaldab toimet patsientide elumusele. Täiendavad uuringud annavad rohkem teavet, et lahendada need määramatused.

Kõige sagedamad kõrvalnähud olid seotud soolega ja neid peeti hallatavaks.

Euroopa Raviamet otsustas, et Kygevvi kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Kygevvi on saanud müügiloa erandlikel asjaoludel. See tähendab, et harvaesineva haiguse tõttu ei olnud võimalik saada Kygevvi kohta täielikku teavet. Ettevõtte peab esitama Kygevvi kohta lisaandmeid. Ettevõtte peab esitama uue uuringu tulemused, et kinnitada ravimi ohutust ja efektiivsust. EMA vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe.

## Mis meetmed võetakse, et tagada Kygevvi ohutu ja efektiivne kasutamine?

Kygevvi ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Kygevvi kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Kygevvi oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

## Muu teave Kygevvi kohta

Lisateave Kygevvi kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevvi](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevvi).