



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Pyrukynd (mitapivaat)

Ülevaade ravimist Pyrukynd ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

### Mis on Pyrukynd ja milleks seda kasutatakse?

Pyrukynd on ravim, mida kasutatakse täiskasvanute raviks, kellel on püruvaadi kinaasi vaegus (PKD), mis on pärilik haigus, mis põhjustab erütrotsüütide ebanormaalset kiiret lagunemist.

PKD esineb harva ja Pyrukynd nimetati 22. aprillil 2020 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Pyrukynd sisaldab toimeainena mitapivaati.

### Kuidas ravimit Pyrukynd kasutatakse?

Pyrukynd on retseptiravim, mida turustatakse suukaudsete tablettidena. Soovitatav algannus on üks 5 mg tablett kaks korda ööpäevas. Annust tohib suurendada iga nelja nädala järel, olenevalt patsiendi hemoglobiinisaldusest (hemoglobiin on erütrotsüütide ehk vere punaliblede valk, mis kannab hapnikku organismis laiali) ja vereülekande vajadusest viimase 8 nädala jooksul. Pyrukyndi maksimaalne soovitatav annus on 50 mg kaks korda ööpäevas.

Kui ravi tuleb katkestada või täielikult lõpetada, tuleb Pyrukyndi annust 1–2 nädala jooksul järk-järgult vähendada.

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

### Kuidas Pyrukynd toimib?

PKD-ga patsientidel on defektne püruvaadi kinaasi vorm. Püruvaadi kinaas on erütrotsüütide valk, mis muundab glükoosi energiaks. Defektse vormi korral ei suuda erütrotsüüdid toota piisavalt energiat, et säilitada oma kuju, mistõttu need lagunevad, enne kui organism jõuab neid asendada. Seda erütrotsüütide liigset lagunemist nimetatakse hemolüütiliseks aneemiaks.

Pyrukyndi toimeaine mitapivaat seondub püruvaadi kinaasiga ja aktiveerib selle, muutes selle efektiivsemaks ja takistades ravitava seisundiga patsientide erütrotsüütide liiga kiiret lagunemist.

---

**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



## **Milles seisneb uuringute põhjal Pyrukyndi kasulikkus?**

Pyrukyndi kasulikkust hinnati kahes põhiuuringus. Esimeses uuringus, milles osales 80 PKD-ga patsienti, kes ei saanud regulaarselt vereülekandeid, võrreldi ravimit Pyrukynd platseeboga (näiv ravim). Selles uuringus suurenes 40%-l Pyrukyndiga ravitud patsientidest hemoglobiinisaldus 1,5 g/dl võrra, mis säilis vähemalt 2 tervisekontrollil, mis tehti pärast 16, 20 ja 24 ravinädalat, ning mitte ühelgi platseebot saanud patsiendil.

Teises uuringus, milles osales 27 patsienti, kes said regulaarselt vereülekandeid, ei võrreldud ravimit Pyrukynd platseeboga muude ravimitega. Selles uuringus vähenes vereülekannetega saadud erütrotsüütide maht enam kui kolmandiku võrra 37%-l patsientidest.

## **Mis riskid ravimiga Pyrukynd kaasnevad?**

Pyrukyndi kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on unetus, iiveldus ja meespatsientide vereanalüüsides täheldatud hormooni östrooni sisalduse vähenemine.

Pyrukyndi kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

## **Miks Pyrukynd ELis heaks kiideti?**

PKD-ga patsientide ravivõimalused on piiratud, sest haiguse ravi piirdub toetava raviga, et leevendada hemolüütilise aneemiaga seotud sümptomeid ja tüsistusi. Kuigi põhiuuringutega oli seotud teatud piiranguid, tõendati, et Pyrukynd on kliiniliselt oluline kasulik osale PKD-ga patsientidest, suurendades hemoglobiinisaldust ja vähendades vereülekannete vajadust. Seetõttu leiti, et Pyrukynd rahuldab neil patsientidel täitmata ravivajaduse.

Lisaks peetakse Pyrukyndi kõrvalnähte hallatavaks. Euroopa Raviamet otsustas seetõttu, et Pyrukyndi kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

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

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

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Pyrukyndi kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Pyrukyndi kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

## **Muu teave Pyrukyndi kohta**

Lisateave Pyrukyndi kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd)