



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Pyrukynd (*mitapivaatti*)

Yleistiedot Pyrukynd-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

### Mitä Pyrukynd on ja mihin sitä käytetään?

Pyrukynd on lääke, jolla hoidetaan aikuisten pyruvaattikinaasin puutosta (PKD). Se on perinnöllinen sairaus, joka aiheuttaa punasolujen normaalia nopeampaa hajoamista.

PKD on harvinainen sairaus, ja Pyrukynd nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 22. huhtikuuta 2020. Lisää tietoa harvinaislääkkeistä löytyy täältä: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Pyrukyndin vaikuttava aine on mitapivaatti.

### Miten Pyrukynd-valmistetta käytetään?

Pyrukynd on reseptivalmiste. Sitä on saatavana suun kautta otettavina tabletteina. Suositeltu aloitusannos on yksi 5 mg:n tabletti kahdesti vuorokaudessa. Annosta voidaan nostaa neljän viikon välein potilaan hemoglobiinipitoisuuden (veren punasoluissa oleva proteiini, joka kuljettaa happea kehon eri osiin) ja potilaan kahdeksan edeltävän viikon verensiirtotarpeen perusteella. Suositeltu Pyrukyndin enimmäisannos on 50 mg kahdesti vuorokaudessa.

Jos hoito on keskeytettävä tai lopetettava kokonaan, Pyrukynd-annostusta pienennetään vähitellen 1–2 viikon kuluessa.

Lisätietoja Pyrukyndin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

### Miten Pyrukynd vaikuttaa?

Pyruvaattikinaasi on veren punasoluissa oleva proteiini, joka muuntaa glukoosia energiaksi. PKD-potilailla sen muoto on viallinen. Tämän seurauksena heidän punasolunsa eivät pysty tuottamaan riittävästi energiaa säilyttääkseen muotonsa, minkä vuoksi ne hajoavat, ennen kuin elimistöllä on aikaa korvata ne uusilla. Tätä punasolujen liiallista hajoamista kutsutaan hemolyyttiseksi anemiaksi.

Pyrukyndin vaikuttava aine, mitapivaatti, kiinnittyy pyruvaattikinaasiin ja aktivoi sen, jolloin se vaikuttaa tehokkaammin ja estää näin punasolujen liian nopeaa hajoamista.

---

**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



## Mitä hyötyä Pyrukyndista on havaittu tutkimuksissa?

Pyrukyndin hyötyä arvioitiin kahdessa päätutkimuksessa. Ensimmäisessä tutkimuksessa, johon osallistui 80 PKD-potilasta, jotka eivät saaneet säännöllisesti verensiirtoja, Pyrukyndia verrattiin lumelääkkeeseen. Tässä tutkimuksessa 40 prosentilla Pyrukynd-hoitoa saaneista potilaista hemoglobiinipitoisuus nousi 1,5 g/dl. Pitoisuus säilyi tällä tasolla vähintään kahdessa verikokeessa, jotka tehtiin 16, 20 ja 24 hoitoviikon jälkeen. Lumelääkettä saaneilla potilailla hemoglobiinipitoisuus ei muuttunut.

Toiseen tutkimukseen osallistui 27 potilasta, jotka saivat säännöllisesti verensiirtoja. Tässä tutkimuksessa Pyrukyndia ei verrattu lumelääkkeeseen tai muihin lääkkeisiin. Tässä tutkimuksessa verensiirtoina annettujen punasolujen määrää voitiin vähentää yli kolmanneksen verran 37 prosentilla potilaista.

## Mitä riskejä Pyrukyndiin liittyy?

Pyrukyndin yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat unettomuus, pahoinvointi ja miespotilaiden verikokeissa todettu estroni-hormonin pitoisuuden pieneneminen.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Pyrukyndin haittavaikutuksista ja rajoituksista.

## Miksi Pyrukynd on hyväksytty EU:ssa?

PKD-potilailla on vain vähän hoitovaihtoehtoja, koska sairauden hoito rajoittuu tukihoidoihin, joilla lievitetään hemolyyttiseen anemiaan liittyviä oireita ja komplikaatioita. Vaikka päätutkimuksiin liittyi joitakin rajoituksia, Pyrukyndin on osoitettu tuottavan kliinisesti merkittävää hyötyä joillekin PKD-potilaille suurentamalla veren hemoglobiinipitoisuutta ja vähentämällä verensiirtojen tarvetta. Näin ollen katsottiin, että Pyrukynd vastasi näiden potilaiden täyttämättömään lääketieteelliseen tarpeeseen.

Lisäksi Pyrukyndin haittavaikutusten katsotaan olevan hallittavissa. Siksi Euroopan lääkevirasto katsoi, että Pyrukyndin hyödyt ovat sen riskejä suuremmat ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

## Miten voidaan varmistaa Pyrukyndin turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Pyrukyndin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Pyrukyndin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Pyrukyndista ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

## Muita tietoja Pyrukyndista

Lisää tietoa Pyrukyndista on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd)