



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Pyrukynd (*mitapivat*)

Aperçu de Pyrukynd et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

### Qu'est-ce que Pyrukynd et dans quel cas est-il utilisé?

Pyrukynd est un médicament utilisé dans le traitement des adultes atteints d'un déficit en pyruvate kinase (déficit en PK), une maladie héréditaire qui provoque une dégradation des globules rouges plus rapide que la normale.

Le déficit en PK est rare et Pyrukynd a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 22 avril 2020. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées ci-après:

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

Pyrukynd contient la substance active mitapivat.

### Comment Pyrukynd est-il utilisé?

Pyrukynd n'est délivré que sur ordonnance. Il est disponible en comprimés à prendre par voie orale. La dose initiale recommandée est d'un comprimé de 5 mg deux fois par jour. La dose peut être augmentée toutes les quatre semaines, en fonction des taux d'hémoglobine du patient (la protéine présente dans les globules rouges qui transporte l'oxygène dans l'organisme) et de la nécessité d'une transfusion au cours des 8 semaines précédentes. La dose maximale recommandée de Pyrukynd est de 50 mg deux fois par jour.

Si le traitement doit être interrompu ou complètement arrêté, la dose de Pyrukynd doit être progressivement réduite sur une période de 1 à 2 semaines.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Pyrukynd, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

### Comment Pyrukynd agit-il?

Les patients atteints de déficit en PK présentent une forme défectueuse de la pyruvate kinase, une protéine présente dans les globules rouges qui convertit le glucose en énergie. Par conséquent, leurs globules rouges ne peuvent pas produire suffisamment d'énergie pour maintenir leur forme, ce qui les conduit à se dégrader avant que l'organisme n'ait le temps de les remplacer. Cette dégradation excessive des globules rouges est connue sous le nom d'anémie hémolytique.

---

**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



La substance active de Pyrukynd, le mitapivat, se fixe à la pyruvate kinase et l'active, ce qui la rend plus efficace et empêche ainsi la dégradation trop rapide des globules rouges de ces patients.

## **Quels sont les bénéfices de Pyrukynd démontrés au cours des études?**

Les bénéfices de Pyrukynd ont été évalués dans le cadre de deux études principales. Dans la première étude, qui portait sur 80 patients atteints de déficit en PK qui ne recevaient pas régulièrement de transfusions sanguines, Pyrukynd a été comparé à un placebo (un traitement fictif). Dans cette étude, 40 % des patients traités par Pyrukynd ont présenté une augmentation de leurs taux d'hémoglobine de 1,5 g/dL, qui s'est maintenue lors de 2 contrôles ou plus effectués après 16, 20 et 24 semaines de traitement, contre aucun des patients sous placebo.

Dans la seconde étude, qui portait sur 27 patients recevant régulièrement des transfusions sanguines, Pyrukynd n'a pas été comparé à un placebo ni à d'autres médicaments. Dans cette étude, le volume de globules rouges reçu par transfusion a été réduit de plus d'un tiers chez 37 % des patients.

## **Quels sont les risques associés à l'utilisation de Pyrukynd?**

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Pyrukynd (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont l'insomnie (difficulté à dormir), les nausées (envie de vomir) et la diminution du taux d'œstrone (une hormone) observée dans les analyses de sang chez les patients de sexe masculin.

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Pyrukynd, voir la notice.

## **Pourquoi Pyrukynd est-il autorisé dans l'UE?**

Les possibilités de traitement pour les patients atteints de déficit en PK sont limitées, car la prise en charge de la maladie est limitée aux traitements de soutien destinés à améliorer les symptômes et les complications associées à l'anémie hémolytique. Bien que certaines limites aient été associées aux études principales, il a été démontré que Pyrukynd apporte des bénéfices cliniquement significatifs à certains patients atteints de déficit en PK, en augmentant les taux d'hémoglobine et en réduisant le besoin de transfusions. Il a donc été considéré que Pyrukynd répondait à un besoin médical non satisfait chez ces patients.

En outre, les effets indésirables de Pyrukynd sont considérés comme gérables. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Pyrukynd sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

## **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Pyrukynd?**

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Pyrukynd ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Pyrukynd sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés avec Pyrukynd sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

## **Autres informations relatives à Pyrukynd:**

Des informations sur Pyrukynd sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd)