



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kygevvi (doksecitin/doksribtimin)

Pregled informacija o lijeku Kygevvi i zašto je odobren u EU-u

### Što je Kygevvi i za što se koristi?

Kygevvi je lijek koji se koristi za liječenje osoba s nedostatkom timidin kinaze 2 (engl. *thymidine kinase 2 deficiency*, TK2d), što je potvrđeno genetskim testom, u kojih su simptomi bolesti nastupili u dobi od 12 godina ili ranije. TK2d je bolest uzrokovana mutacijama (promjenama) na genu *TK2* koje uzrokuju progresivno slabljenje mišića, gubitak sposobnosti kretanja i hodanja, poteškoće s disanjem i skraćeni očekivani životni vijek.

TK2d je rijetka bolest, a lijek Kygevvi dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 20. travnja 2017. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu](#) EMA-e.

Kygevvi sadrži djelatne tvari doksecitin i doksribtimin.

### Kako se Kygevvi primjenjuje?

Kygevvi se izdaje samo na recept, a liječenje mora nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju bolesti koja zahvaća mitohondrije, dijelove stanica koji proizvode energiju.

Lijek Kygevvi dostupan je u obliku praška koji se miješa u vodi i uzima na usta triput dnevno.

Za više informacija o primjeni lijeka Kygevvi pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

### Kako djeluje Kygevvi?

TK2 pomaže u stvaranju i održavanju DNK-a unutar mitohondrija. U osoba koje imaju TK2d mutacije na genu *TK2* sprječavaju njegovo pravilno funkcioniranje. Kao rezultat toga, mitohondriji ne funkcioniraju kako bi trebali, a mišići ne mogu proizvoditi dovoljno energije, što dovodi do progresivnog slabljenja mišića.

Način na koji Kygevvi djeluje u ljudi nije potvrđen. Međutim, ispitivanja na životinjama upućuju na to da mišićne stanice apsorbiraju njegove djelatne tvari doksecitin i doksribtimin (gradivni elementi DNK-a) te da one postaju dio mitohondrijskog DNK-a. Time se poboljšava stvaranje i održavanje mitohondrijskog DNK-a. Očekuje da će na taj se način Kygevvi nadoknaditi smanjenu aktivnost TK2 i usporiti daljnje slabljenje mišića kod oboljelih osoba.

---

**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



## **Koje su koristi od lijeka Kygevvu utvrđene u ispitivanjima?**

U odraslih i djece s TK2d, koji je potvrđen genetskim testiranjem, u kojih su simptomi bolesti nastupili u dobi od 12 godina ili ranije, liječenje lijekom Kygevvu omogućilo je osobama da vrate ključne točke motoričkih vještina.

Budući da je TK2d rijetka bolest, broj bolesnika je premalen da bi se provelo ispitivanje u kojem bi se lijek Kygevvu usporedio s nekim drugim lijekom ili placebom (prividnim liječenjem). Učinci lijeka Kygevvu stoga su procijenjeni na temelju medicinske dokumentacije bolesnika i rezultata ispitivanja u kojem su svi bolesnici primali lijek Kygevvu. U procjenu je bilo uključeno ukupno 39 bolesnika u kojih su simptomi bolesti nastupili u dobi od 12 godina ili ranije.

Učinak liječenja procijenjen je usporedbom ključnih točaka motoričkih vještina, kao što je sposobnost sjedenja, stajanja ili hodanja, prije i nakon početka terapije lijekom Kygevvu. Tijekom liječenja oko 84 % pacijenata (26 od 31) vratilo je barem jednu ključnu točku motoričkih vještina, dok je oko 26 % njih (10 od 38) izgubilo barem jednu ključnu točku motoričkih vještina.

## **Koje su nuspojave i ograničenja pri primjeni lijeka Kygevvu?**

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Kygevvu potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Kygevvu (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) uključuju proljev, povraćanje i bol u abdomenu (trbuhu).

## **Zašto je lijek Kygevvu odobren u EU-u?**

U trenutku izdavanja odobrenja nije bilo odobrenog liječenja za TK2d, a skrb je bila ograničena na potporne mjere. Te su mjere obuhvaćale davanje hranjivih tvari putem cjevčice za hranjenje, fizioterapiju za potporu kretanju i potporu za disanje s pomoću ventilatora.

Pokazalo se da Kygevvu omogućuje bolesnicima u kojih su simptomi bolesti nastupili u dobi od 12 godina ili ranije da vrate ključne točke motoričkih vještina. Iako je postojala određena nesigurnost u pogledu snage učinka, vraćanje ključnih točaka motoričkih vještina rijetko je u prirodnom tijeku bolesti. Stoga je vjerojatno da je do vraćanja ključnih točaka motoričkih vještina došlo zahvaljujući primjeni lijeka Kygevvu. Dostupni podatci nisu mogli pokazati utječe li Kygevvu na duljinu života bolesnika. Dodatnim ispitivanjima prikupit će se više informacija kako bi se otklonile te nesigurnosti.

Najčešće nuspojave bile su povezane s crijevima i smatralo se da ih je moguće kontrolirati.

Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Kygevvu nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Lijek Kygevvu odobren je u iznimnim okolnostima. Razlog tome je nemogućnost dobivanja potpunih informacija o lijeku Kygevvu zbog niske učestalosti bolesti. Tvrtka mora dostaviti dodatne podatke o lijeku Kygevvu. Mora dostaviti rezultate novog ispitivanja kako bi se potvrdila sigurnost primjene i učinkovitost lijeka. EMA će svake godine procijeniti sve nove informacije koje postanu dostupne.

## **Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Kygevvu?**

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Kygevvu nalaze se u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podaci o primjeni lijeka Kygevvi kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Kygevvi pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

## **Ostale informacije o lijeku Kygevvi**

Više informacija o lijeku Kygevvi dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevvi](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevvi).