



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pyrukynd (*mitapivat*)

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

Što je Pyrukynd i za što se koristi?

Pyrukynd je lijek koji se koristi za liječenje odraslih osoba s nedostatkom enzima piruvat kinaze (engl. *pyruvate kinase deficiency* – PKD), nasljednom bolesti koja uzrokuje abnormalno brzu razgradnju crvenih krvnih stanica.

PKD je rijetka bolest, a lijek Pyrukynd dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 22. travnja 2020. Više informacija o statusu lijeka za rijetku bolest možete naći ovdje:

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

Pyrukynd sadrži djelatnu tvar mitapivat.

Kako se Pyrukynd primjenjuje?

Pyrukynd se izdaje samo na recept. Dostupan je u obliku tableta koje se uzimaju kroz usta. Preporučena početna doza je jedna tableta od 5 mg dvaput na dan. Doza se može povećavati svaka četiri tjedna na temelju razine hemoglobina (proteina u crvenim krvnim stanicama koji prenosi kisik kroz tijelo) u krvi bolesnika i njihove potrebe za transfuzijom tijekom prethodnih osam tjedana. Najveća preporučena doza lijeka Pyrukynd je 50 mg dvaput na dan.

Ako liječenje treba privremeno obustaviti ili trajno prekinuti, dozu lijeka Pyrukynd treba postupno smanjivati tijekom razdoblja od jednog do dva tjedna.

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

Kako djeluje Pyrukynd?

Bolesnici s PKD-om imaju neispravan oblik piruvat kinaze, proteina u crvenim krvnim stanicama koji glukozu pretvara u energiju. Zbog toga njihove crvene krvne stanice ne mogu proizvesti dovoljno energije da zadrže svoj oblik te se razgrađuju prije nego što ih tijelo stigne zamijeniti. Ta prekomjerna razgradnja crvenih krvnih stanica naziva se hemolitička anemija.

Djelatna tvar lijeka Pyrukynd, mitapivat, veže se na piruvat kinazu i aktivira je, što uzrokuje njezin učinkovitiji rad i time sprječava prebrzu razgradnju crvenih krvnih stanica u tih bolesnika.

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

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

An agency of the European Union



Koje su koristi od lijeka Pyrukynd utvrđene u ispitivanjima?

Koristi od lijeka Pyrukynd ocijenjene su u dvama glavnim ispitivanjima. U prvom ispitivanju, koje je uključivalo 80 bolesnika s PKD-om koji nisu redovito primali transfuziju krvi, lijek Pyrukynd uspoređen je s placebom (prividnim liječenjem). U tom je ispitivanju u 40 % bolesnika koji su primali lijek Pyrukynd zabilježen porast razine hemoglobina od 1,5 g/dl, koje je održano pri dva ili više pregleda provedenih nakon 16, 20 i 24 tjedna liječenja, dok se to nije dogodilo ni u jednog od bolesnika koji su primali placebo.

U drugom ispitivanju, u kojem je sudjelovalo 27 bolesnika koji su redovito primali transfuziju krvi, lijek Pyrukynd nije uspoređen s placebom ni s drugim lijekovima. U tom se ispitivanju volumen crvenih krvnih stanica primljenih u transfuzijama smanjio za više od trećine u 37 % bolesnika.

Koji su rizici povezani s lijekom Pyrukynd?

Najčešće su nuspojave lijeka Pyrukynd (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) nesanica (poteškoće sa spavanjem), mučnina i pad razine hormona estrona zabilježen u krvnim pretragama kod muških bolesnika.

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s primjenom lijeka Pyrukynd potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Pyrukynd odobren u EU-u?

Postoje ograničene mogućnosti liječenja bolesnika s PKD-om jer je liječenje bolesti ograničeno na potporne terapije za ublažavanje simptoma i komplikacija povezanih s hemolitičkom anemijom. Iako su postojala određena ograničenja povezana s glavnim ispitivanjima, utvrđeno je da Pyrukynd pruža klinički značajne koristi za neke bolesnike s PKD-om time što povisuje razinu hemoglobina i smanjuje potrebu za transfuzijama. Stoga se smatralo da lijek Pyrukynd ispunjava nezadovoljenu medicinsku potrebu u tih bolesnika.

Nadalje, smatra se da je nuspojave lijeka Pyrukynd moguće kontrolirati. Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Pyrukynd nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Pyrukynd?

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

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Pyrukynd kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave lijeka Pyrukynd pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Pyrukynd

Više informacija o lijeku Pyrukynd dostupno je na internetskim stranicama Agencije:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd