



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kygevvi (doxycitadin/doxribtimin)

A Kygevvi-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

### **Milyen típusú gyógyszer a Kygevvi és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

A Kygevvi-t olyan, timidin-kináz-2-hiányban (TK2d) szenvedő személyek kezelésére alkalmazzák, akiknél a betegség tünetei 12 éves korukban vagy azt megelőzően kezdődtek, és ezt genetikai vizsgálat megerősítette. A TK2d egy olyan betegség, amelyet a TK2 gén mutációi (változásai) okoznak, amelyek progresszív izomgyengeséghez, a mozgás és a sétálás képességének elvesztéséhez, légzési nehézségekhez és a várható élettartam lerövidüléséhez vezetnek.

Mivel a TK2d „ritkának” minősül, ezért a Kygevvi-t 2017. április 20-án „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Kygevvi hatóanyagként doxycitint és doxribtimint tartalmaz.

### **Hogyan kell alkalmazni a Kygevvi-t?**

A Kygevvi csak receptre kapható, és a kezelést a sejtekben található energiatermelő komponenseket, a mitokondriumokat érintő betegségekben jártas orvosnak kell felügyelnie.

A Kygevvi vízben összekeverendő por formájában kapható, amelyet szájon át, naponta háromszor kell bevenni.

A Kygevvi alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

### **Hogyan fejt ki hatását a Kygevvi?**

A TK2 enzim segít a DNS előállításában és fenntartásában a mitokondriumok belsejében. A TK2d-ben szenvedő betegeknek a TK2 mutációi megakadályozzák annak megfelelő működését. Ennek eredményeként a mitokondriumok nem működnek megfelelően, és az izmok nem képesek elegendő energiát termelni, ami progresszív izomgyengeséghez vezet.

---

**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



A Kygevvi hatásmechanizmusa embereknél nem igazolt. Az állatokon végzett vizsgálatok azonban arra utalnak, hogy a hatóanyagait, a doxecitint és a doxribtimint (DNS építőelemek) az izomsejtek felveszik, és azok a mitokondriális DNS részévé válnak. Ez segít javítani a mitokondriális DNS termelődését és fenntartását. Ily módon a Kygevvi várhatóan ellensúlyozza a csökkent TK2 aktivitást, és segít lelassítani az izomgyengeség súlyosbodását a betegségben szenvedőknél.

## **Milyen előnyei voltak a Kygevvi alkalmazásának a vizsgálatok során?**

A genetikai vizsgálattal igazolt TK2d-ben szenvedő felnőtteknél és gyermekeknél, akiknél a betegség tünetei 12 éves vagy annál idősebb korban kezdődtek, a Kygevvi-vel végzett kezelés lehetővé tette, hogy a betegek visszanyerjenek motoros funkcióikhoz kapcsolódó lépcsőfokokat.

Mivel a TK2d egy ritka betegség, túl kevés beteg van ahhoz, hogy elvégezzenek egy vizsgálatot, amelyben a Kygevvi-t egy másik kezeléssel vagy placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) hasonlítják össze. A Kygevvi hatásait ezért a betegek egészségügyi dokumentációjának, valamint egy olyan vizsgálat eredményeinek alapján értékelték, amelyben minden beteg Kygevvi-t kapott. Az értékelésbe összesen 39 olyan beteget vontak be, akiknek a tünetei 12 éves korukban vagy azelőtt jelentkeztek.

A kezelés hatását a motoros lépcsőfokoknak, például a Kygevvi megkezdése előtti és utáni ülő-, álló- vagy sétálóképességnek az összehasonlításával értékelték. A kezelés során a betegek mintegy 84%-a (31-ből 26) nyert vissza legalább egy motoros lépcsőfokot, míg mintegy 26%-uk (38-ből 10) legalább egy motoros lépcsőfokot elveszített.

## **Milyen mellékhatásokkal és korlátozásokkal jár a Kygevvi alkalmazása?**

A Kygevvi alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Kygevvi leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a hasmenés, a hányás és a hasi fájdalom.

## **Miért engedélyezték a Kygevvi forgalomba hozatalát az EU-ban?**

Az engedélyezés időpontjában a TK2d vonatkozásában nem volt engedélyezett kezelés, és az ellátás támogató intézkedésekre korlátozódott. Ezek közé tartozott a tápcsövön keresztüli táplálás, a mozgássegítő fizioterápia és a lélegeztetőgép segítségével történő légzéstámogatás.

A Kygevvi-ről kimutatták, hogy lehetővé teszi azon betegek számára, akiknek a betegség tünetei 12 éves korukban vagy azt megelőzően kezdődtek, hogy visszanyerjenek motoros lépcsőfokokat. Bár némi bizonytalanság állt fenn a hatás mértékét illetően, a motoros lépcsőfokok helyreállása ritka a betegség természetes lefolyása során. Ezért valószínű, hogy a motoros lépcsőfokok visszaszerzése a Kygevvi-vel való kezelésnek volt köszönhető. A rendelkezésre álló adatok nem tudták kimutatni, hogy a Kygevvi hatással van-e a betegek élettartamára. A további vizsgálatok további információkkal fognak szolgálni e bizonytalanságok kezeléséhez.

A leggyakoribb mellékhatások a belekkel voltak kapcsolatosak, és kezelhetőnek tekinthetők.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Kygevvi alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, és alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A Kygevvi forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Kygevvi-

ről. A vállalatnak további adatokat kell benyújtania a Kygevvire vonatkozóan. A vállalatnak be kell nyújtania egy új vizsgálat eredményeit, hogy megerősítse a gyógyszer biztonságosságát és hatásosságát. Az EMA minden évben felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban a Kygevvi biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

A Kygevvi biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Kygevvi alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Kygevvi alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

## **A Kygevvi-vel kapcsolatos egyéb információ**

A Kygevvi-vel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevvi](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevvi).