



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pyrukynd (*mitapivat*)

Sintesi di Pyrukynd e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Pyrukynd e per cosa si usa?

Pyrukynd è un medicinale usato per il trattamento di adulti affetti da deficit di piruvato chinasi (deficit di PK), una malattia ereditaria che causa la distruzione prematura dei globuli rossi.

Il deficit di PK è una malattia rara e Pyrukynd è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 22 aprile 2020. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Pyrukynd contiene il principio attivo mitapivat.

Come si usa Pyrukynd?

Pyrukynd può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. È disponibile sotto forma di compresse da assumere per via orale. La dose iniziale raccomandata è di una compressa da 5 mg due volte al giorno. La dose può essere aumentata ogni quattro settimane, in base ai livelli di emoglobina (la proteina nei globuli rossi che trasporta l'ossigeno nell'organismo) dei pazienti e alla necessità di sottoporli a trasfusione nelle 8 settimane precedenti. La dose massima raccomandata di Pyrukynd è di 50 mg due volte al giorno.

Se il trattamento deve essere interrotto o sospeso completamente, la dose di Pyrukynd deve essere gradualmente ridotta nell'arco di 1-2 settimane.

Per maggiori informazioni sull'uso di Pyrukynd, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Pyrukynd?

I pazienti affetti da deficit di PK hanno una forma difettosa di piruvato chinasi, una proteina presente nei globuli rossi che converte il glucosio in energia. Di conseguenza, i loro globuli rossi non sono in grado di produrre energia sufficiente per mantenere la forma. Ciò ne provoca la distruzione prima che l'organismo abbia il tempo di sostituirli. Questa eccessiva distruzione dei globuli rossi è conosciuta come anemia emolitica.

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



Il principio attivo di Pyrukynd, mitapivat, si lega al piruvato chinasi e lo attiva. In tal modo, rende la sua azione più efficace e impedisce la distruzione prematura dei globuli rossi dei pazienti.

Quali benefici di Pyrukynd sono stati evidenziati negli studi?

I benefici di Pyrukynd sono stati valutati in due studi principali. Nel primo studio, condotto su 80 pazienti affetti da deficit di PK non sottoposti regolarmente a trasfusioni di sangue, Pyrukynd è stato confrontato con placebo (un trattamento fittizio). In questo studio, il 40 % dei pazienti trattati con Pyrukynd ha mostrato un aumento dei livelli di emoglobina di 1,5 g/dL, che è rimasto costante in 2 o più controlli effettuati dopo 16, 20 e 24 settimane di trattamento, rispetto a nessuno dei pazienti del gruppo placebo.

Nel secondo studio, condotto su 27 pazienti sottoposti regolarmente a trasfusioni di sangue, Pyrukynd non è stato confrontato con placebo o con altri medicinali. In questo studio, il volume dei globuli rossi ricevuti nelle trasfusioni si è ridotto di oltre un terzo nel 37 % dei pazienti.

Quali sono i rischi associati a Pyrukynd?

Gli effetti indesiderati più comuni di Pyrukynd (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono insonnia, nausea e livelli diminuiti dell'ormone estrone rilevati negli esami del sangue nei pazienti di sesso maschile.

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Pyrukynd, vedere il foglio illustrativo.

Perché Pyrukynd è autorizzato nell'UE?

Esistono opzioni terapeutiche limitate per i pazienti affetti da deficit di PK, in quanto la gestione della malattia è limitata a trattamenti di supporto per migliorare i sintomi e le complicazioni associate all'anemia emolitica. Sebbene gli studi principali presentassero alcune limitazioni, Pyrukynd ha dimostrato di fornire benefici clinicamente significativi ad alcuni pazienti affetti da deficit PKD, aumentando i livelli di emoglobina e riducendo la necessità di trasfusioni. Si è pertanto ritenuto che Pyrukynd risponda a un'esigenza medica non soddisfatta in questi pazienti.

Inoltre, gli effetti indesiderati di Pyrukynd sono considerati gestibili. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Pyrukynd sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Pyrukynd?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Pyrukynd sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Pyrukynd sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Pyrukynd sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Pyrukynd

Ulteriori informazioni su Pyrukynd sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

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