



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kygevvi (doksecitinas / doksribtiminas)

Kygevvi apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Kygevvi ir kam jis vartojamas?

Kygevvi – tai vaistas, skirtas vaikams ir suaugusiesiems, sergantiems genetiniais tyrimais patvirtintu timidino kinazės 2 trūkumu (TK2d), kuriems simptomai prasidėjo 12 metų arba anksčiau, gydyti. TK2d yra liga, kurią sukelia TK2 geno mutacijos (pakitimai), lemiančios progresuojantį raumenų silpnėjimą, gebėjimo judėti ir vaikščioti praradimą, kvėpavimo pasunkėjimą ir trumpesnę tikėtiną gyvenimo trukmę.

TK2d yra reta liga, todėl 2017 m. balandžio 20 d. Kygevvi buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA [interneto svetainėje](#).

Kygevvi sudėtyje yra veikliųjų medžiagų doksecitino ir doksribtimino.

Kaip vartoti Kygevvi?

Kygevvi galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turi prižiūrėti gydytojas, turintis mitochondrinų ligų (pažeidžiančių mitochondrijas – energiją gaminančius ląstelės komponentus) ligų gydymo patirties.

Kygevvi tiekiamas miltelių, kuriuos reikia sumaišyti su vandeniu ir gerti tris kartus per parą, forma.

Daugiau informacijos apie Kygevvi vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Kygevvi?

Fermentas TK2 padeda gaminti ir palaikyti mitochondrijų DNR. TK2d sergančių žmonių organizme TK2 mutacijos neleidžia fermentui tinkamai veikti. Dėl to sutrinka mitochondrijų veikimas, raumenys negali pagaminti pakankamai energijos, todėl paciento raumenys palaipsniui silpsta.

Kaip Kygevvi veikia žmogaus organizme, nėra nustatyta. Tačiau su gyvūnais atlikti tyrimai leidžia manyti, kad jo veikliąsias medžiagas doksorubiciną ir doksribtiminą (DNR sudedamąsias dalis) įsisavina raumenų ląstelės ir jos tampa mitochondrinės DNR dalimi. Tai padeda gerinti mitochondrinės DNR susidarymą ir palaikymą. Manoma, kad taip Kygevvi kompensuoja sumažėjusį TK2 aktyvumą ir padeda sulėtinti šia liga sergančių žmonių raumenų silpnėjimą.

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



Kokia Kygevvī nauda nustatyta tyrimų metu?

Tyrimuose su genetiniais tyrimais nustatyta TK2d sergančiais suaugusiais ir vaikais, kuriems ligos simptomai prasidėjo 12 metų arba anksčiau, gydymas Kygevvī padėjo žmonėms atgauti motorinius gebėjimus.

TK2d yra reta liga, todėl yra per mažai pacientų, su kuriais būtų galima atlikti Kygevvī ir kito vaisto arba placebo (preparato be veikliosios medžiagos) lyginamąjį tyrimą. Todėl Kygevvī poveikis buvo vertinamas remiantis pacientų medicininiais duomenimis ir tyrimo, kuriame visi pacientai vartojo Kygevvī, rezultatais. Iš viso įvertinti 39 pacientų, kuriems simptomai prasidėjo 12 metų arba anksčiau, duomenys.

Gydymo poveikis buvo vertinamas lyginant motorinius gebėjimus, kaip antai gebėjimą sėdėti, stovėti arba vaikščioti prieš pradėdant vartoti Kygevvī ir po to. Gydymo metu maždaug 84 proc. (26 iš 31) pacientų atgavo bent vieną motorinį gebėjimą, o maždaug 26 proc. (10 iš 38) prarado bent vieną motorinį gebėjimą.

Koks yra Kygevvī šalutinis poveikis ir kokie yra jo vartojimo apribojimai?

Išsamų visų Kygevvī šalutinio poveikio ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Kygevvī šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra viduriavimas, vėmimas ir pilvo skausmas.

Kodėl Kygevvī buvo registruotas ES?

Registracijos metu nebuvo registruotų vaistų nuo Tk2d ir pacientų priežiūra apsiribojo pagalbinėmis priemonėmis. Tai, be kita ko, buvo maitinimas per vamzdelį, fizioterapija gebėjimui judėti palaikyti ir kvėpavimo palaikymas naudojant ventiliatorių.

Nustatyta, kad pacientams, kurių ligos simptomai prasidėjo 12 metų arba anksčiau, Kygevvī padeda atstatyti motorinius gebėjimus. Nors nebuvo iki galo aišku, kokia yra vaisto nauda, esant natūraliai ligos eigai, motoriniai gebėjimai retai atsistato. Todėl tikėtina, kad motoriniai gebėjimai atsistatė dėl gydymo Kygevvī. Iš turimų duomenų negalima nustatyti, ar Kygevvī turi poveikį pacientų gyvenimo trukmei. Tolesni tyrimai suteiks daugiau informacijos šiuo klausimu.

Šalutinis poveikis dažniausiai buvo susijęs su žarnynu, nuspręsta, kad jį galima kontroliuoti.

Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Kygevvī nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kygevvī registruotas išimtinėmis sąlygomis, nes dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie šį vaistą. Bendrovė turi pateikti daugiau duomenų apie Kygevvī. Ji turi pateikti naujo tyrimo rezultatus, kad patvirtintų vaisto saugumą ir veiksmingumą. EMA kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Kygevvī vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Kygevvī vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Kygevvi vartojimo duomenys yra nuolat stebimi. Įtariamas Kygevvi šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Kygevvi

Daugiau informacijos apie Kygevvi rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

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