



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pyrukynd (*mitapivatas*)

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

Kas yra Pyrukynd ir kam jis vartojamas?

Pyrukynd – tai vaistas, skirtas suaugusiems pacientams piruvato kinazės (PK) stokai gydyti – paveldimai ligai, dėl kurios raudonosios kraujo ląstelės suyra greičiau nei įprastai.

PK stoka laikoma reta liga, todėl 2020 m. balandžio 22 d. Pyrukynd buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite čia: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Pyrukynd sudėtyje yra veikliosios medžiagos mitapivato.

Kaip vartoti Pyrukynd?

Pyrukynd galima įsigyti tik pateikus receptą. Jis tiekiamas geriamųjų tablečių forma. Rekomenduojama pradinė dozė yra po vieną 5 mg tabletę du kartus per parą. Vaisto dozę galima didinti kas keturias savaites, atsižvelgiant į hemoglobino (raudonųjų kraujo ląstelių baltymo, pernešančio deguonį organizme) kiekį ir į tai, ar per pastarąsias 8 savaites pacientui reikėjo atlikti kraujo perpylimą. Didžiausia rekomenduojama Pyrukynd dozė yra po 50 mg du kartus per parą.

Jei gydymą reikia laikinai arba visiškai nutraukti, Pyrukynd dozę reikia laipsniškai sumažinti per 1–2 savaites.

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

Kaip veikia Pyrukynd?

PK stoka sergančių pacientų organizme yra pakitusios formos piruvato kinazės – raudonosiose kraujo ląstelėse esančio baltymo, kuris paverčia gliukozę energija. Dėl to šių pacientų raudonosios kraujo ląstelės negali pagaminti pakankamai energijos, kad išlaikytų savo formą, ir suyra, organizmui dar nespėjus jų pakeisti. Toks pernelyg spartus raudonųjų kraujo ląstelių irimas vadinamas hemolizine anemija.

Veiklioji Pyrukynd medžiaga mitapivatas jungiasi su piruvato kinaze ir ją aktyvina, todėl ji veikia veiksmingiau ir neleidžia paciento raudonosioms kraujo ląstelėms per anksti suirti.

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 Pyrukynd nauda nustatyta tyrimų metu?

Pyrukynd nauda buvo vertinama atliekant du pagrindinius tyrimus. Pirmame tyrime su 80 PK stoka sergančių pacientų, kuriems reguliariai nebuvo atliekami kraujo perpylimai, Pyrukynd buvo lyginamas su placebo (netikru vaistu). Šiame tyrime 40 proc. Pyrukynd gydytų pacientų hemoglobino kiekis padidėjo 1,5 g/dl ir toks išliko, kaip nustatyta atlikus du arba daugiau patikrinimų po 16, 20 ir 24 gydymo savaitių. Pacientų, kuriems buvo skirta placebo, grupėje tokio padidėjimo nenustatyta nė vienam pacientui.

Antrame tyrime su 27 pacientais, kuriems reguliariai buvo atliekami kraujo perpylimai, Pyrukynd nebuvo lyginamas su placebo ar kitais vaistais. Šiame tyrime raudonųjų kraujo ląstelių kiekis, gautas perpylus kraują, sumažėjo daugiau nei trečdaliu 37 proc. pacientų.

Kokia rizika susijusi su Pyrukynd vartojimu?

Dažniausias Pyrukynd šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra nemiga (miego sutrikimas), pykinimas ir sumažėjęs hormono estrono kiekis, nustatytas vyrams atlikus kraujo tyrimus.

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

Kodėl Pyrukynd buvo registruotas ES?

PK stokos gydymo būdų nėra daug, liga gydoma tik pagalbiniais vaistais, kurie palengvina su hemolizine anemija susijusius simptomus ir komplikacijas. Nors pagrindiniai tyrimai turėjo tam tikrų trūkumų, nustatyta, kad Pyrukynd duoda kliniškai reikšmingą naudą kai kuriems PK stoka sergantiems pacientams, nes didina hemoglobino kiekį ir mažina poreikį perpilti kraują. Todėl laikytasi nuomonės, kad Pyrukynd patenkina šių pacientų medicininį poreikį.

Be to, laikomasi nuomonės, kad Pyrukynd sukeliama šalutinį poveikį galima kontroliuoti. Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Pyrukynd nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Pyrukynd vartojimą?

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

Kaip ir visų vaistų, Pyrukynd vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamą Pyrukynd šalutinį poveikį yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Pyrukynd

Daugiau informacijos apie Pyrukynd rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

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