



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kygevvi (*dokseticīns/doksribtimīns*)

Kygevvi pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Kygevvi* un kāpēc tās lieto?

Kygevvi ir zāles, ko lieto, lai ārstētu cilvēkus ar timidīnkināzes 2 deficītu (TK2d), kas apstiprināts ar ģenētisku testu un kam slimības simptomi sākās 12 gadu vecumā vai pirms tā. TK2d ir stāvoklis, ko izraisa TK2 gēna mutācijas (izmaiņas) un kas izraisa progresējošu muskuļu vājumu, nespēju kustēties un staigāt, elpošanas grūtības un saīsinātu paredzamo dzīvildzi.

TK2d ir "reta" slimība, un 2017. gada 20. aprīlī *Kygevvi* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama EMA [tīmekļa vietnē](#).

Kygevvi satur aktīvās vielas doksecitīnu un doksribtimīnu.

Kā lieto *Kygevvi*?

Kygevvi var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāuzrauga ārstam ar pieredzi tādu slimību ārstēšanā, kuras ietekmē mitohondrijus, t. i., šūnās esošās enerģiju ražojošās sastāvdaļas.

Kygevvi ir pieejamas kā pulveris, ko sajauc ūdenī un lieto iekšķīgi trīs reizes dienā.

Papildu informāciju par *Kygevvi* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Kygevvi* darbojas?

TK2 enzīms palīdz sintezēt un uzturēt DNS mitohondrijos. Cilvēkiem ar TK2d mutācijas TK2 neļauj tam pienācīgi darboties. Tā rezultātā mitohondriji pienācīgi nedarbojas un muskuļi nevar saražot pietiekami daudz enerģijas, un tas izraisa pakāpenisku muskuļu vājumu.

Nav apstiprināts, kā *Kygevvi* darbojas cilvēkos. Tomēr pētījumi ar dzīvniekiem liecina, ka tā aktīvās vielas doksecitīns un doksribtimīns (DNS pamatelementi) uzsūcas muskuļu šūnās un kļūst par mitohondriju DNS daļu. Tas palīdz uzlabot mitohondriālās DNS sintēzi un uzturēšanu. Tādējādi paredzams, ka *Kygevvi* kompensēs samazināto TK2 aktivitāti un palīdzēs palēnināt muskuļu vājuma progresēšanu cilvēkiem ar šo slimību.

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



Kādi *Kygevvī* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pieaugušajiem un bērniem ar TK2d, ko apstiprināja ģenētiskā testēšana un kuriem slimības simptomi sākās 12 gadu vecumā vai pirms šā vecuma, ārstēšana ar *Kygevvī* ļāva cilvēkiem atgūt motoriskās funkcijas.

Tā kā TK2d ir reta slimība, ir pārāk maz pacientu, lai veiktu pētījumu, kurā salīdzināt *Kygevvī* ar citu ārstēšanu vai placebo (fiktīvu ārstēšanu). Tādēļ *Kygevvī* iedarbību novērtēja, ņemot vērā pacientu medicīnisko dokumentāciju un rezultātus no pētījuma, kurā visi pacienti saņēma *Kygevvī*. Kopumā novērtējumā tika iekļauti 39 pacienti, kuriem simptomi sākās 12 gadu vecumā vai pirms tam.

Ārstēšanas efektivitāti vērtēja, salīdzinot motoriskos atskaites punktus, piemēram, spēju sēdēt, stāvēt vai staigāt pirms un pēc *Kygevvī* lietošanas uzsākšanas. Ārstēšanas laikā aptuveni 84 % pacientu (26 no 31) atguva vismaz vienu motorisku funkciju, savukārt aptuveni 26 % pacientu (10 no 38) zaudēja vismaz vienu motorisku funkciju.

Kādas ir *Kygevvī* blakusparādības un ierobežojumi?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Kygevvī*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Kygevvī* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir caureja, vemšana un sāpes vēderā.

Kāpēc *Kygevvī* ir reģistrētas ES?

Reģistrācijas brīdī TK2d ārstēšanai nebija apstiprinātas ārstēšanas, un aprūpe aprobežojās ar atbalsta pasākumiem. Tie ietvēra barības padevi caur barošanas caurulīti, fizioterapiju, lai veicinātu kustību, un elpošanas atbalstu, izmantojot ventilatoru.

Tika pierādīts, ka *Kygevvī* ļauj pacientiem, kuriem slimības simptomi sākās 12 gadu vecumā vai pirms šā vecuma, atgūt motoriskās funkcijas. Lai gan bija zināmas neskaidrības par ietekmes apmēru, motorisko funkciju atgūšana slimības dabiskajā gaitā ir reta. Tāpēc ir iespējams, ka motorisko funkciju mērķu sasniegšana tika atgūta, pateicoties ārstēšanai ar *Kygevvī*. Pieejamie dati nevarēja parādīt, vai *Kygevvī* ietekmē pacientu dzīvildzi. Papildu pētījumos tiks sniegta plašāka informācija šo neskaidrību novēršanai.

Visbiežākās blakusparādības bija saistītas ar zarnām un tika uzskatītas par kontrolējamām.

Tāpēc Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Kygevvī*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kygevvī ir reģistrētas ārkārtas apstākļos. Tas nozīmē, ka sakarā ar šīs slimības retumu nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Kygevvī*. Uzņēmumam ir jāsniedz papildu dati par *Kygevvī*. Tai jāiesniedz jauna pētījuma rezultāti, lai apstiprinātu zāļu drošumu un efektivitāti. Katru gadu EMA pārskatīs visu pieejamo jauno informāciju.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Kygevvī* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Kygevvī* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Kygevvi* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Kygevvi* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Kygevvi*

Sīkāka informācija par *Kygevvi* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

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