



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kygevvi (doxecitne / doxribtimine)

Ħarsa ġenerali lejn Kygevvi u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Kygevvi u għal xiex jintuża?

Kygevvi huwa medicina li tintuża għat-trattament ta' persuni b'defiċjenza ta' thymidine kinase 2 (TK2d), ikkonfermata b'test ġenetiku, li s-sintomi tal-marda tagħhom bdew fl-età ta' 12-il sena jew qabel. TK2d hija kundizzjoni kkawżata minn mutazzjonijiet (bidliet) fil-ġene *TK2* li jwasslu għal dgħufija progressiva fil-muskoli, telf tal-kapaċità li wieħed jiċċaqlaq u jimxi, diffikultajiet fit-teħid tan-nifs u stennija tal-għomor imqassra.

TK2d hija rari, u Kygevvi ġie denominat bħala "medicina orfni" (medicina li tintuża f'mard rari) fl-20 ta' April 2017. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjonijiet orfni tinstab fuq is-[sit web](#) tal-EMA.

Kygevvi fih is-sustanzi attivi doxecitne u doxribtimine.

Kif jintuża Kygevvi?

Kygevvi jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u t-trattament għandu jiġi ssorveljat minn tabib b'esperjenza f'kundizzjonijiet li jaffettwaw il-mitokondriji, il-komponenti li jipproduċu l-enerġija fiċ-ċelloli.

Kygevvi jiġi bħala trab li jithallat fl-ilma u jittiehed mill-ħalq tliet darbiet kuljum.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Kygevvi, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispjazzar tiegħek.

Kif jaħdem Kygevvi?

L-enzima TK2 tgħin biex tipproduċi u żżomm id-DNA ġewwa l-mitokondriji. F'persuni b'TK2d, il-mutazzjonijiet f'TK2 jipprevjenuha milli taħdem sew. B'riżultat ta' dan, il-mitokondriji ma jaħdmux kif suppost, u l-muskoli ma jkunux jistgħu jipproduċu biżżejjed enerġija, li jwassal għal dgħufija progressiva fil-muskoli.

Il-mod kif jaħdem Kygevvi fil-persuni ma ġiex ikkonfermat. Madankollu, l-istudji fl-annimali jissuggerixxu li s-sustanzi attivi tiegħu, id-doxecitine u d-doxribtimine (elementi kostitwenti tad-DNA), jittieħdu miċ-ċelloli tal-muskoli u jsiru parti mid-DNA mitokondrijali. Dan jgħin biex jittejjbu l-produzzjoni u l-manutenzjoni tad-DNA mitokondrijali. B'dan il-mod, Kygevvi huwa mistenni li

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



jikkumpensa għat-tnaqqis fl-attività tat-TK2 u jgħin biex inaqqas id-deterjorament tad-dgħufija fil-muskoli f'persuni bil-kundizzjoni.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Kygevvu li hargu mill-istudji?

Fl-adulti u t-tfal b'TK2d, ikkonfermata permezz ta' ttestjar ġenetiku, li s-sintomi tal-marda tagħhom bdew fl-età ta' 12-il sena jew qabel, it-trattament b'Kygevvu ppermetta lill-persuni jerġgħu jiksbu l-istadji importanti tal-moviment.

Minhabba li t-TK2d hija marda rari, hemm ftit wisq pazjenti biex jitwettaq studju li jqabbel Kygevvu ma' trattament ieħor jew ma' placebo (trattament finta). L-effetti ta' Kygevvu għalhekk ġew ivvalutati billi ġew analizzati r-rekords mediċi tal-pazjenti u r-riżultati ta' studju li fih il-pazjenti kollha ngħataw Kygevvu. B'kolloxx, 39 pazjent li s-sintomi tagħhom bdew fl-età ta' 12-il sena jew qabel kienu inklużi fl-evalwazzjoni.

L-effett tat-trattament ġie vvalutat billi tqabblu l-istadji importanti tal-moviment, bħall-kapaċità li wieħed ipogġi bilqiegħda, joqgħod bilwieqfa jew jimxi, qabel u wara l-bidu ta' Kygevvu. Matul it-trattament, madwar 84 % tal-pazjenti (26 minn 31) kisbu mill-ġdid tal-inqas stadju importanti wieħed tal-moviment, filwaqt li madwar 26 % (10 minn 38) tilfu tal-inqas stadju importanti wieħed tal-moviment.

X'inhuma l-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Kygevvu?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Kygevvu, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Kygevvu (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu dijarea, rimettar u wġiġħ addominali (fiż-żaqq).

Għaliex Kygevvu ġie awtorizzat fl-UE?

Fiż-żmien tal-awtorizzazzjoni, ma kien hemm l-ebda trattament awtorizzat għal TK2d, u l-kura kienet limitata għal miżuri ta' appoġġ. Dawn kienu jinkludu l-għoti ta' nutrizzjoni permezz ta' tubu tal-ikel, fiżjoterapija biex tappoġġa l-moviment u l-appoġġ għat-teħid tan-nifs bl-użu ta' ventilatur.

Kygevvu ntweraw li jippermetti lill-pazjenti li s-sintomi tal-marda tagħhom bdew fl-età ta' 12-il sena jew qabel jerġgħu jiksbu stadji importanti tal-moviment. Għalkemm kien hemm xi incertezza dwar id-daqs tal-effett, il-kisba mill-ġdid tal-istadji importanti tal-moviment hija rari matul il-kors naturali tal-marda. Għalhekk huwa probabbli li l-ksib mill-ġdid tal-istadji importanti tal-moviment kien bis-saħħa tat-trattament b'Kygevvu. Id-*data* disponibbli ma setgħetx turi jekk Kygevvu għandux effett fuq kemm idumu hajjin il-pazjenti. Aktar studji se jipprovdu aktar informazzjoni biex jiġu indirizzati dawn l-incertezzi.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni kienu relatati mal-imsaren u kienu kkunsidrati maniġġabbli.

L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini għaldaqstant iddeċidiet li l-benefiċċji ta' Kygevvu huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

Kygevvu ġie awtorizzat taħt ċirkostanzi ta' eċċezzjoni. Dan minhabba li ma kienx possibbli li tinkiseb informazzjoni kompluta dwar Kygevvu minhabba r-rarità tal-marda. Il-kumpanija trid tipprovdi aktar *data* dwar Kygevvu. Għandha tissottometti r-riżultati ta' studju ġdid biex tikkonferma s-sigurtà u l-effikaċja tal-mediċina. Kull sena, l-EMA se tirrieżamina kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli.

X'mizuri qeghdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Kygevvj?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Kygevvj.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Kygevvj hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Kygevvj huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħhuda biex tiproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Kygevvj

Aktar informazzjoni dwar Kygevvj tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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