



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Pyrukynd (*mitopivat*)

Ħarsa ġenerali lejn Pyrukynd u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

### X'inhu Pyrukynd u għal xiex jintuża?

Pyrukynd huwa mediċina li tintuża għall-kura ta' adulti b'defiċjenza ta' pyruvate kinase (PKD), marda li tintiret li tikkawża liċ-ċelloli ħomor tad-demem biex jtkissru aktar malajr min-normal.

IL-PKD huwa rari, u Pyrukynd ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fit-22 ta' April 2020. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab hawn: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Pyrukynd fih is-sustanza attiva mitapivat.

### Kif jintuża Pyrukynd?

Pyrukynd jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib. Dan jiġi bħala pilloli li għandhom jittieħdu mill-ħalq. Id-doża inizjali rakkomandata hija pillola waħda ta' 5 mg li tittieħed darbtejn kuljum. Id-doża tista' tizzied kull erba' ġimgħat, abbażi tal-livelli tal-emoglobina tal-pazjent (il-proteina fiċ-ċelloli ħomor tad-demem li ġgħorr l-ossigenu madwar il-ġisem) u l-ħtieġa tagħhom għal trasfużjoni fit-tmien ġimgħat preċedenti. Id-doża massima rakkomandata ta' Pyrukynd hija ta' 50 mg darbtejn kuljum.

Jekk ikun hemm bżonn li l-kura tiġi interrotta jew titwaqqaf kompletament, id-doża ta' Pyrukynd għandha titnaqqas gradwalment fuq perjodu ta' ġimgħa sa ġimgħtejn.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Pyrukynd, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

### Kif jaħdem Pyrukynd?

Pazjenti b'PKD għandhom forma difettuża ta' pyruvate kinase, proteina fiċ-ċelloli ħomor tad-demem li tikkonverti l-glukożju f'enerġija. B'riżultat ta' dan, iċ-ċelloli ħomor tad-demem tagħhom ma jistgħux jipproduċu biżżejjed enerġija biex iżommu l-forma tagħhom, u dan iwassal biex jtkissru qabel ma l-ġisem ikollu l-ħin biex jissostitwixxihom. Dan it-tkissir eċċessiv ta' ċelloli ħomor tad-demem huwa magħruf bħala anemija emolitika.

Is-sustanza attiva f'Pyrukynd, il-mitapivat, tehel ma' u tattiva l-pyruvate kinase, u tikkawżaha biex taħdem b'mod aktar effettiv u b'hekk tipprevjeni li ċ-ċelloli ħomor tad-demem ta' dawn il-pazjenti jtkissru malajr wisq.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **X'inhuma l-benefiċċji ta' Pyrukynd li ħarġu mill-istudji?**

Il-benefiċċji ta' Pyrukynd ġew evalwati f'żewġ studji ewlenin. Fl-ewwel studju, li involva 80 pazjent bil-PDK li ma kinux qed jingħataw trasfużjonijiet tad-demem b'mod regolari, Pyrukynd tqabbel mal-plaċebo (kura finta). F'dan l-istudju, 40 % tal-pazjenti kkurati b'Pyrukynd kellhom żieda tal-livelli tal-emoglobina tagħhom ta' 1.5 g/dL, li nżammet f'żewġ kontrolli jew aktar li twettqu wara 16, 20 u 24 ġimgħa ta' kura, meta mqabbla mal-ebda wieħed mill-pazjenti kkurati bil-plaċebo.

Fit-tieni studju, li involva 27 pazjent li kienu qed jingħataw trasfużjonijiet tad-demem b'mod regolari, Pyrukynd ma tqabbilx mal-plaċebo jew ma' kwalunkwe mediċina oħra. F'dan l-istudju, il-volum ta' ċelloli ħomor tad-demem riċevuti fi trasfużjonijiet tnaqqas b'aktar minn terz f'37 % tal-pazjenti.

## **X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Pyrukynd?**

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Pyrukynd (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) huma insomnja (diffikultà biex torqod), nawżja (tħossok ma tiflaħx) u tnaqqis fil-livelli tal-ormon oestrone li jidher fit-testijiet tad-demem f'pazjenti rġiel.

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

## **Għaliex Pyrukynd ġie awtorizzat fl-UE?**

Hemm għażliet ta' kura limitati għal pazjenti b'PDK peress li l-ġestjoni tal-marda hija ristretta għal kuri ta' appoġġ biex itejbu s-sintomi u l-kumplikazzjonijiet assoċjati ma' anemija emolitika. Għalkemm kien hemm xi limitazzjonijiet assoċjati mal-istudji ewlenin, Pyrukynd intwera li jipprovdi benefiċċji klinikament sinifikanti lil xi pazjenti b'PKD, billi jżid il-livelli tal-emoglobina u jnaqqas il-ħtieġa għal trasfużjonijiet. Għalhekk ġie kkunsidrat li Pyrukynd indirizza ħtieġa medika mhux issodisfata f'dawn il-pazjenti.

Barra minn hekk, l-effetti sekondarji ta' Pyrukynd huma kkunsidrati maniġġabbli. L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini għaldaqstant iddeċidiet li l-benefiċċji ta' Pyrukynd huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

## **X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Pyrukynd?**

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inkluzi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawżjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Pyrukynd.

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

## **Informazzjoni oħra dwar Pyrukynd**

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

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd)