



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kygevvi (doxecitine/doxribtimine)

Een overzicht van Kygevvi en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Kygevvi en wanneer wordt het voorgeschreven?

Kygevvi is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten met thymidinekinase 2-deficiëntie (TK2d) die is bevestigd door een genetische test, wanneer de symptomen van de ziekte op of vóór de leeftijd van 12 jaar zijn begonnen. TK2d is een aandoening die wordt veroorzaakt door mutaties (veranderingen) in het *TK2*-gen, die leiden tot progressieve spierzwakte, verlies van het vermogen om te bewegen en te lopen, ademhalingsmoeilijkheden en een verkorte levensverwachting.

TK2d is zeldzaam en Kygevvi werd op 20 april 2017 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Kygevvi bevat de werkzame stoffen doxecitine en doxribtimine.

Hoe wordt Kygevvi gebruikt?

Kygevvi is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met aandoeningen die de mitochondriën, de energieproducerende bestanddelen in cellen, aantasten.

Kygevvi is verkrijgbaar in de vorm van een poeder dat met water moet worden gemengd en driemaal per dag via de mond moet worden ingenomen.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Kygevvi.

Hoe werkt Kygevvi?

Het TK2-enzym helpt bij het produceren en in stand houden van het DNA in de mitochondriën. Bij mensen met TK2d voorkomen mutaties in het *TK2*-gen dat het enzym goed werkt. De mitochondriën werken daardoor niet naar behoren, en de spieren kunnen niet voldoende energie produceren, wat leidt tot progressieve spierzwakte.

De werking van Kygevvi bij mensen is niet bevestigd. Studies bij dieren wijzen er echter op dat de werkzame stoffen ervan, doxecitine en doxribtimine (DNA-bouwstenen), door spiercellen worden

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



opgenomen en deel gaan uitmaken van mitochondriaal DNA. Dit helpt de productie en instandhouding van mitochondriaal DNA te verbeteren. Op deze manier zal Kygevvii naar verwachting de verminderde TK2-activiteit compenseren en de verergering van de spierzwakte bij personen met deze aandoening helpen vertragen.

Welke voordelen bleek Kygevvii tijdens de studies te hebben?

Volwassenen en kinderen met door genetische tests bevestigde TK2d bij wie de symptomen van de ziekte begonnen op of vóór de leeftijd van 12 jaar, waren door de behandeling met Kygevvii weer in staat om motorische mijlpalen te bereiken.

Omdat TK2d een zeldzame ziekte is, zijn er te weinig patiënten om een studie uit te voeren waarin Kygevvii wordt vergeleken met een andere behandeling of met placebo (een schijnbehandeling). De effecten van Kygevvii werden daarom beoordeeld door te kijken naar de medische dossiers van patiënten en naar de resultaten van een studie waarin alle patiënten Kygevvii kregen. In totaal werden 39 patiënten beoordeeld bij wie de symptomen op of vóór de leeftijd van 12 jaar begonnen.

Het effect van de behandeling werd beoordeeld door motorische functies (zoals het vermogen om te zitten, te staan of te lopen) voor en na aanvang van de behandeling met Kygevvii met elkaar te vergelijken. Tijdens de behandeling wist ongeveer 84 % van de patiënten (26 van de 31) ten minste één motormijlpaal opnieuw te bereiken, terwijl ongeveer 26 % (10 van de 38) ten minste één motorische mijlpaal verloor.

Wat zijn de bijwerkingen van en de beperkende voorwaarden voor Kygevvii?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Kygevvii.

De meest voorkomende bijwerkingen van Kygevvii (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn diarree, braken en buikpijn.

Waarom is Kygevvii geregistreerd in de EU?

Ten tijde van de goedkeuring was er geen toegelaten behandeling voor TK2d en was de zorg beperkt tot ondersteunende maatregelen. Deze omvatten het verstrekken van voeding via een voedingsbuis, fysiotherapie ter ondersteuning van beweging en ademhalingsondersteuning met behulp van een beademingsapparaat.

Kygevvii bleek patiënten bij wie de symptomen van de ziekte op of vóór de leeftijd van 12 jaar begonnen, weer in staat te stellen motorische mijlpalen te bereiken. Hoewel er enige onzekerheid bestond over de omvang van het effect, is er bij het natuurlijke verloop van de ziekte zelden sprake van een herstel van het vermogen om motorische mijlpalen te bereiken. Het is daarom waarschijnlijk dat het herstel van het vermogen om motorische mijlpalen te bereiken te danken was aan de behandeling met Kygevvii. Uit de beschikbare gegevens kon niet worden opgemaakt of Kygevvii een effect heeft op de levensduur van patiënten. Verdere studies zullen meer informatie opleveren om deze onzekerheden weg te nemen.

De meest voorkomende bijwerkingen hielden verband met de darmen en werden als beheersbaar beschouwd.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Kygevvii groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Kygevvii is onder uitzonderlijke omstandigheden goedgekeurd. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Kygevvii te verkrijgen. Het bedrijf moet nadere gegevens over Kygevvii verstrekken. Het moet de resultaten van een nieuwe studie indienen om de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel te bevestigen. Het Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuw beschikbare informatie beoordelen.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Kygevvii te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Kygevvii, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Kygevvii continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Kygevvii worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Kygevvii

Meer informatie over Kygevvii is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevvii.