



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pyrukynd (*mitapivat*)

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

Wat is Pyrukynd en wanneer wordt het voorgeschreven?

Pyrukynd is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van volwassenen met pyruvaatkinasedeficiëntie (PKD), een erfelijke aandoening die ervoor zorgt dat rode bloedcellen sneller dan normaal worden afgebroken.

PKD is zeldzaam, en Pyrukynd werd op 22 april 2020 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Pyrukynd bevat de werkzame stof mitapivat.

Hoe wordt Pyrukynd gebruikt?

Pyrukynd is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. Het middel is beschikbaar in de vorm van tabletten die via de mond moeten worden ingenomen. De aanbevolen aanvangsdosis is tweemaal daags één tablet van 5 mg. De dosis kan elke vier weken worden verhoogd, afhankelijk van het hemoglobinegehalte van de patiënt (het eiwit in rode bloedcellen dat zuurstof door het lichaam vervoert) en de transfusiebehoefte in de voorafgaande acht weken. De maximale aanbevolen dosis Pyrukynd is 50 mg tweemaal daags.

Als de behandeling moet worden onderbroken of volledig moet worden stopgezet, moet de dosis Pyrukynd over een periode van één tot twee weken geleidelijk worden verlaagd.

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

Hoe werkt Pyrukynd?

Patiënten met PKD hebben een gebrekkige vorm van pyruvaatkinase, een eiwit in rode bloedcellen dat glucose omzet in energie. Daardoor produceren de rode bloedcellen onvoldoende energie om hun vorm vast te houden, met als gevolg dat ze sneller worden afgebroken dan het lichaam ze kan vervangen. Deze overmatige afbraak van rode bloedcellen wordt ook wel hemolytische anemie genoemd.

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



De werkzame stof in Pyrukynd, mitapivat, hecht zich aan en activeert pyruvaatkinase, waardoor dit eiwit effectiever werkt en zodoende wordt voorkomen dat de rode bloedcellen van deze patiënten te snel worden afgebroken.

Welke voordelen bleek Pyrukynd tijdens de studies te hebben?

De voordelen van Pyrukynd werden beoordeeld in twee hoofdstudies. In de eerste studie onder 80 patiënten met PKD die niet regelmatig bloedtransfusies kregen, werd Pyrukynd vergeleken met placebo (een schijnbehandeling). In deze studie werd bij 40 % van de met Pyrukynd behandelde patiënten een verhoging van het hemoglobinegehalte in het bloed van 1,5 g/dl vastgesteld, en dit gehalte bleef constant bij twee of meer controles die werden uitgevoerd na 16, 20 en 24 weken behandeling. Bij de patiënten die placebo kregen werd daarentegen geen verhoging van het hemoglobinegehalte vastgesteld.

In de tweede studie onder 27 patiënten die regelmatig bloedtransfusies kregen, werd Pyrukynd niet vergeleken met placebo of andere geneesmiddelen. In deze studie kon het volume rode bloedcellen dat via transfusies werd toegediend bij 37 % van de patiënten met meer dan een derde worden verminderd.

Welke risico's houdt het gebruik van Pyrukynd in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Pyrukynd (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn slaperigheid, misselijkheid en verminderde concentraties van het hormoon oestron, vastgesteld via bloedonderzoek bij mannelijke patiënten.

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

Waarom is Pyrukynd geregistreerd in de EU?

De behandelingsopties voor patiënten met PKD zijn beperkt, aangezien er uitsluitend ondersteunende behandelingen voor de aandoening bestaan, die erop zijn gericht de symptomen en complicaties van hemolytische anemie te verbeteren. Hoewel de hoofdstudies enkele beperkingen hadden, hebben zij aangetoond dat de verhoging van het hemoglobinegehalte en de verminderde transfusiebehoefte als gevolg van het gebruik van Pyrukynd voor een aantal patiënten klinisch betekenisvolle voordelen biedt. Daarom werd geoordeeld dat Pyrukynd bij deze patiënten voorziet in een onvervulde medische behoefte.

Bovendien worden de bijwerkingen van Pyrukynd als beheersbaar beschouwd. Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Pyrukynd groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

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

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

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

Overige informatie over Pyrukynd

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