



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kygevvi (doksecytyna/doksrybtymina)

Przegląd wiedzy na temat leku Kygevvi i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### Czym jest lek Kygevvi i w jakim celu się go stosuje

Kygevvi jest lekiem stosowanym w leczeniu osób z niedoborem kinazy tymidynowej 2 (TK2d) potwierdzonym w teście genetycznym, u których objawy choroby wystąpiły w wieku 12 lat lub wcześniej. TK2d jest chorobą wywołaną mutacjami (zmianami) w genie *TK2*, które prowadzą do postępującego osłabienia mięśni, utraty zdolności poruszania się i chodzenia, trudności w oddychaniu i skrócenia oczekiwanej długości życia.

Ze względu na to, że TK2d jest chorobą rzadko występującą, w dniu 20 kwietnia 2017 r. lek Kygevvi uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocemu można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancjami czynnymi zawartymi w leku Kygevvi są doksecytyna i doksrybtymina.

### Jak stosować lek Kygevvi

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien nadzorować lekarz z doświadczeniem w chorobach mitochondriów, czyli elementów wytwarzających energię w komórkach.

Lek Kygevvi jest dostępny w postaci proszku do wymieszania z wodą i przyjmowania doustnego trzy razy na dobę.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Kygevvi znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

### Jak działa lek Kygevvi

Enzym TK2 pomaga wytwarzać i utrzymywać DNA w mitochondriach. U osób z TK2d mutacje w TK2 uniemożliwiają jego prawidłowe działanie. W rezultacie mitochondria nie działają tak, jak powinny, a mięśnie nie są w stanie wytworzyć wystarczającej ilości energii, co prowadzi do postępującego osłabienia mięśni.

Sposób działania leku Kygevvi u ludzi nie został potwierdzony. Badania na zwierzętach sugerują jednak, że jego substancje czynne, doksecytyna i doksrybtymina (elementy budulcowe DNA), są

---

**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



pobierane przez komórki mięśniowe i stają się częścią mitochondrialnego DNA. Pomaga to poprawić wytwarzanie i utrzymanie mitochondrialnego DNA. Oczekuje się, że w ten sposób lek Kygevvi skompensuje obniżoną aktywność TK2 i pomoże spowolnić postęp osłabienia mięśni u osób z tą chorobą.

## **Korzyści ze stosowania leku Kygevvi wykazane w badaniach**

U osób dorosłych i dzieci z TK2d potwierdzonym w badaniach genetycznych, u których objawy choroby wystąpiły w wieku 12 lat lub wcześniej, leczenie lekiem Kygevvi pozwoliło na odzyskanie ważnych etapów rozwoju motorycznego.

Ponieważ TK2d jest chorobą rzadką, liczba pacjentów pozwalającą przeprowadzić badanie porównujące lek Kygevvi z inną terapią bądź placebo (leczeniem pozorowanym) jest zbyt niska. Działanie leku Kygevvi oceniano zatem na podstawie dokumentacji medycznej pacjentów oraz wyników badania, w którym wszyscy uczestnicy otrzymywali lek Kygevvi. Łącznie do oceny włączono 39 pacjentów, u których objawy wystąpiły w wieku 12 lat lub wcześniej.

Efekt leczenia oceniano przez porównanie ważnych etapów rozwoju motorycznego, takich jak zdolność siedzenia, stania czy chodzenia, przed rozpoczęciem leczenia lekiem Kygevvi i po jego rozpoczęciu. W trakcie leczenia około 84% pacjentów (26 z 31) odzyskało co najmniej jeden ważny etap rozwoju motorycznego, podczas gdy około 26% (10 z 38) utraciło co najmniej jeden ważny etap rozwoju motorycznego.

## **Działania niepożądane i ograniczenia związane ze stosowaniem leku Kygevvi**

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Kygevvi znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Kygevvi (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: biegunka, wymioty i ból brzucha.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Kygevvi w UE**

W momencie udzielenia pozwolenia inne terapie dopuszczone do stosowania w leczeniu TK2d były niedostępne, a opieka nad pacjentami ograniczała się do działań wspomagających. Obejmowały one odżywianie przez sondę, fizjoterapię wspomagającą ruch i wspomaganie oddychania za pomocą respiratora.

Wykazano, że lek Kygevvi umożliwia pacjentom, u których objawy choroby wystąpiły w wieku 12 lat lub wcześniej, odzyskanie ważnych etapów rozwoju motorycznego. Chociaż istniała niepewność co do wielkości efektu, odzyskanie ważnych etapów rozwoju motorycznego jest rzadkością w naturalnym przebiegu choroby. Jest zatem prawdopodobne, że było to spowodowane leczeniem lekiem Kygevvi. Na podstawie dostępnych danych nie można było wykazać, czy lek Kygevvi ma wpływ na długość życia pacjentów. Dalsze badania dostarczą więcej informacji w celu rozwiania tych wątpliwości.

Najczęstsze działania niepożądane były związane z jelitami i zostały uznane za możliwe do opanowania.

Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Kygevvi przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Kygevvii dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Kygevvii z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Firma musi dostarczyć dodatkowe dane dotyczące leku Kygevvii. Firma musi przedstawić wyniki nowego badania w celu potwierdzenia bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leku. Co roku EMA dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które będą dostępne.

### **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Kygevvii**

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Kygevvii w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Kygevvii są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Kygevvii są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

### **Inne informacje dotyczące leku Kygevvii**

Dalsze informacje dotyczące leku Kygevvii znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevvii](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevvii).