



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kygevvi (doxecitina/doxribtimina)

Um resumo sobre Kygevvi e por que está autorizado na UE

### O que é Kygevvi e para que é utilizado?

Kygevvi é um medicamento utilizado no tratamento de pessoas com deficiência em timidina quinase 2 (TK2d), confirmada por um teste genético, cujos sintomas da doença começaram aos 12 anos de idade ou antes. A TK2d é uma doença causada por mutações (alterações) no gene *TK2* que conduz a uma fraqueza muscular progressiva, perda da capacidade de a pessoa se mover e caminhar, dificuldades respiratórias e uma redução da esperança de vida.

A TK2d é uma doença rara, e Kygevvi foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 20 de abril de 2017. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no [sítio Web](#) da EMA.

Kygevvi contém as substâncias ativas doxecitina e doxribtimina.

### Como se utiliza Kygevvi?

Kygevvi só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser supervisionado por um médico com experiência em doenças que afetam as mitocôndrias, os componentes das células que produzem energia.

Kygevvi está disponível na forma de um pó para misturar em água e é tomado por via oral três vezes por dia.

Para mais informações sobre a utilização de Kygevvi, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

### Como funciona Kygevvi?

A enzima TK2 ajuda a produzir e a manter o DNA no interior das mitocôndrias. Em pessoas com TK2d, existem mutações na TK2 que a impedem de funcionar adequadamente. Consequentemente, as mitocôndrias não funcionam como deveriam e os músculos não conseguem produzir energia suficiente, o que provoca uma fraqueza muscular progressiva.

Não foi confirmada a forma como Kygevvi funciona nas pessoas. No entanto, estudos em animais sugerem que as suas substâncias ativas, a doxecitina e a doxribtimina (unidades que compõem o DNA), são absorvidas pelas células musculares e passam a fazer parte do DNA mitocondrial. Isto ajuda

**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



a melhorar a produção e a manutenção do DNA mitocondrial. Deste modo, espera-se que Kygevvvi compense a redução da atividade da TK2 e ajude a abrandar o agravamento da fraqueza muscular nas pessoas com a doença.

## **Quais os benefícios demonstrados por Kygevvvi durante os estudos?**

Em adultos e crianças com TK2d, confirmada por testes genéticos, cujos sintomas da doença tiveram início aos 12 anos de idade ou antes, o tratamento com Kygevvvi permitiu que as pessoas recuperassem os marcos motores do desenvolvimento.

Uma vez que a TK2d é uma doença rara, o número de doentes não é suficiente para realizar um estudo que compare Kygevvvi com outro tratamento ou com um placebo (tratamento simulado). Por conseguinte, os efeitos de Kygevvvi foram avaliados analisando os registos médicos dos doentes e os resultados de um estudo em que todos os doentes receberam Kygevvvi. No total, foram incluídos na avaliação 39 doentes cujos sintomas começaram aos 12 anos de idade ou antes.

O efeito do tratamento foi avaliado comparando os marcos motores, como a capacidade de a pessoa se sentar, ficar de pé ou caminhar, antes e depois do início do tratamento com Kygevvvi. Durante o tratamento, cerca de 84 % dos doentes (26 em 31) recuperaram pelo menos um marco motor, ao passo que cerca de 26 % (10 em 38) perderam pelo menos um marco motor.

## **Quais são os efeitos secundários e as restrições de utilização de Kygevvvi?**

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Kygevvvi, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Kygevvvi (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem diarreia, vómitos e dor abdominal (dor de barriga).

## **Por que está Kygevvvi autorizado na UE?**

No momento da autorização, não havia tratamento autorizado para a TK2d e tratamento limitava-se a medidas de suporte. Estas incluíam alimentação fornecida através de um tubo, fisioterapia para ajudar ao movimento e suporte respiratório com recurso a um ventilador.

Kygevvvi demonstrou permitir que os doentes cujos sintomas da doença se tinham iniciado com 12 anos de idade ou antes recuperassem os marcos motores. Embora tenha havido alguma incerteza quanto à dimensão do efeito, a recuperação dos marcos motores é rara na evolução natural da doença. Por conseguinte, é provável que a recuperação dos marcos motores se tenha devido ao tratamento com Kygevvvi. Os dados disponíveis não permitiram demonstrar se Kygevvvi tem efeito no tempo de vida dos doentes. Estudos adicionais irão fornecer mais informações para responder a estas incertezas.

Os efeitos secundários mais frequentes estavam relacionados com o intestino e foram considerados controláveis.

Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Kygevvvi são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Kygevvvi foi autorizado em circunstâncias excepcionais. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre Kygevvvi devido à raridade da doença. A empresa deve fornecer dados adicionais sobre Kygevvvi. Deve apresentar os resultados de um novo estudo para confirmar a

segurança e a eficácia do medicamento. A EMA procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis.

### **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Kygeevi?**

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Kygeevi.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Kygeevi são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Kygeevi são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

### **Outras informações sobre Kygeevi**

Estão disponíveis mais informações sobre Kygeevi no sítio Web da Agência:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygeevi](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygeevi).