



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pyrukynd (*mitapivat*)

Um resumo sobre Pyrukynd e porque está autorizado na UE

O que é Pyrukynd e para que é utilizado?

Pyrukynd é um medicamento utilizado no tratamento de adultos com deficiência de piruvato quinase (PK), uma doença hereditária que faz com que os glóbulos vermelhos se decomponham mais rapidamente do que o normal.

A deficiência de PK é uma doença rara, e Pyrukynd foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 22 de abril de 2020. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas aqui: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Pyrukynd contém a substância ativa mitapivat.

Como se utiliza Pyrukynd?

Pyrukynd só pode ser obtido mediante receita médica. Está disponível na forma de comprimidos a tomar por via oral. A dose inicial recomendada é de um comprimido de 5 mg duas vezes por dia. A dose pode ser aumentada a cada quatro semanas, com base nos níveis de hemoglobina do doente (a proteína nos glóbulos vermelhos que transporta oxigénio pelo organismo) e na sua necessidade de transfusão nas 8 semanas anteriores. A dose máxima recomendada de Pyrukynd é de 50 mg duas vezes por dia.

Caso seja necessário interromper ou suspender completamente o tratamento, a dose de Pyrukynd deve ser gradualmente reduzida ao longo de um período de 1 a 2 semanas.

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

Como funciona Pyrukynd?

Os doentes com deficiência de PK apresentam uma forma defeituosa de piruvato quinase, uma proteína nos glóbulos vermelhos que converte a glicose em energia. Em consequência, os seus glóbulos vermelhos não conseguem produzir energia suficiente para manter a sua forma, fazendo com que se decomponham antes de o organismo ter tempo para os substituir. Esta degradação excessiva dos glóbulos vermelhos é conhecida como anemia hemolítica.

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



A substância ativa de Pyrukynd, a mitapivat, liga-se à piruvato quinase, ativando-a, e fazendo com que esta atue de forma mais eficaz e, desse modo, impedindo que os glóbulos vermelhos destes doentes sejam decompostos de forma demasiado rápida.

Quais os benefícios demonstrados por Pyrukynd durante os estudos?

Os benefícios de Pyrukynd foram avaliados em dois estudos principais. No primeiro estudo, que incluiu 80 doentes com deficiência de PK que não estavam a receber regularmente transfusões de sangue, Pyrukynd foi comparado com um placebo (tratamento simulado). Neste estudo, 40 % dos doentes tratados com Pyrukynd apresentaram um aumento dos níveis de hemoglobina de 1,5 g/dL, que se manteve em 2 ou mais consultas realizadas após 16, 20 e 24 semanas de tratamento, em comparação com nenhum dos doentes tratados com placebo.

No segundo estudo, que incluiu 27 doentes que estavam a receber regularmente transfusões de sangue, Pyrukynd não foi comparado com um placebo ou quaisquer outros medicamentos. Neste estudo, o volume de glóbulos vermelhos recebido em transfusões foi reduzido em mais de um terço em 37 % dos doentes.

Quais são os riscos associados a Pyrukynd?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Pyrukynd (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são insónia (dificuldade em dormir), náuseas (sensação de enjojo) e diminuição dos níveis da hormona estrona observados em análises ao sangue em doentes do sexo masculino.

Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização relativamente a Pyrukynd, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Pyrukynd autorizado na UE?

As opções de tratamento para os doentes com deficiência de PK são limitadas, uma vez que o tratamento da doença se restringe a tratamentos de suporte para melhorar os sintomas e as complicações associadas à anemia hemolítica. Apesar de se terem verificado algumas limitações associadas aos estudos principais, Pyrukynd demonstrou proporcionar benefícios clinicamente significativos a alguns doentes com deficiência de PK, aumentando os níveis de hemoglobina e reduzindo a necessidade de transfusões. Por conseguinte, considerou-se que Pyrukynd abordou uma necessidade médica não satisfeita nestes doentes.

Além disso, os efeitos secundários de Pyrukynd são considerados controláveis. Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Pyrukynd são superiores aos seus riscos e que o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Pyrukynd?

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 Pyrukynd.

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

Outras informações sobre Pyrukynd

Para informações adicionais sobre Pyrukynd, consulte o sítio da internet da Agência:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd