



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kygevvi (doxecitină/doxribtimină)

Prezentare generală a Kygevvi și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Kygevvi și pentru ce se utilizează?

Kygevvi este un medicament care se utilizează pentru tratarea persoanelor cu deficit de timidin kinază 2 (TK2d), confirmat prin test genetic, la care simptomele bolii au început la vârsta de 12 ani sau înainte. TK2d este o afecțiune cauzată de mutații (modificări) ale genei *TK2* care cauzează slăbiciune musculară progresivă, pierderea capacității de mișcare și de mers, dificultăți de respirație și reduce speranța de viață.

TK2d este rară, iar Kygevvi a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 20 aprilie 2017. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul EMA](#).

Kygevvi conține substanțele active doxecitină și doxribtimină.

Cum se utilizează Kygevvi?

Kygevvi se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie supravegheat de un medic cu experiență în afecțiuni care afectează mitocondriile, componentele producătoare de energie din celule.

Kygevvi este disponibil sub formă de pulbere care se amestecă în apă și se administrează pe cale orală de trei ori pe zi.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Kygevvi, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Kygevvi?

Enzima TK2 ajută la producerea și menținerea ADN-ului în mitocondrii. La persoanele cu TK2d, mutațiile TK2 împiedică buna sa funcționare. Prin urmare, mitocondriile nu mai funcționează cum ar trebui, iar mușchii nu pot produce suficientă energie, ceea ce duce la slăbiciune musculară progresivă.

Modul în care acționează Kygevvi la oameni nu a fost confirmat. Studiile pe animale sugerează însă că substanțele sale active, doxecitina și doxribtimina (compuși de bază ai ADN-ului), sunt absorbite de celulele musculare și devin parte a ADN-ului mitocondrial. Acest lucru contribuie la îmbunătățirea producției și a întreținerii ADN-ului mitocondrial. Astfel, Kygevvi ar trebui să compenseze reducerea

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



activității TK2 și să contribuie la încetinirea agravării slăbiciunii musculare la persoanele cu această afecțiune.

Ce beneficii a prezentat Kygevvî pe parcursul studiilor?

La adulții și copiii cu TK2d, confirmată prin testare genetică, la care simptomele bolii au început la vârsta de 12 ani sau înainte, tratamentul cu Kygevvî a permis redobândirea reperelor motorii.

Deoarece TK2d este o boală rară, există prea puțini pacienți pentru a efectua un studiu care să compare Kygevvî cu alt tratament sau cu placebo (preparat inactiv). Prin urmare, efectele Kygevvî au fost evaluate prin examinarea dosarelor medicale ale pacienților și a rezultatelor unui studiu în care toți pacienții au primit Kygevvî. În total, au participat la evaluare 39 de pacienți la care simptomele au început la vârsta de 12 ani sau înainte.

Efectul tratamentului a fost evaluat prin compararea reperelor motorii, cum ar fi capacitatea de a sta în șezut, în picioare sau de a merge, înainte și după începerea tratamentului cu Kygevvî. În timpul tratamentului, aproximativ 84 % din pacienți (26 din 31) au redobândit cel puțin un reper motor, în timp ce aproximativ 26 % (10 din 38) au pierdut cel puțin un reper motor.

Care sunt reacțiile adverse și restricțiile asociate cu Kygevvî?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Kygevvî, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Kygevvî (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt diaree, vărsături și dureri abdominale (de burtă).

De ce a fost autorizat Kygevvî în UE?

La momentul autorizării, nu exista niciun tratament autorizat pentru TK2d, iar tratamentul era limitat la măsuri de susținere, cum ar fi hrănire printr-o sondă de alimentare, fizioterapie pentru a susține mișcarea și suport respirator cu ventilator.

S-a demonstrat că Kygevvî ajută pacienții la care simptomele bolii au început la vârsta de 12 ani sau înainte să-și redobândească reperatele motorii. Deși au existat unele incertitudini cu privire la amploarea efectului, redobândirea reperelor motorii se întâmplă rar în evoluția naturală a bolii. Prin urmare, este probabil ca redobândirea reperelor motorii să se fi datorat tratamentului cu Kygevvî. Datele disponibile nu au putut demonstra dacă Kygevvî influențează durata de viață a pacienților. Studiile suplimentare vor furniza mai multe informații pentru a clarifica aceste incertitudini.

Cele mai frecvente reacții adverse au fost legate de intestin și au fost considerate gestionabile terapeutic.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Kygevvî sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Kygevvî a fost autorizat în condiții excepționale. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Kygevvî. Compania trebuie să furnizeze date suplimentare despre Kygevvî. Compania trebuie să prezinte rezultatele unui nou studiu pentru a confirma siguranța și eficacitatea medicamentului. În fiecare an, EMA va analiza informațiile nou apărute.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Kygevvii?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Kygevvii, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Kygevvii sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Kygevvii sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Kygevvii

Mai multe informații despre Kygevvii se pot găsi pe site-ul agenției:

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