



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pyrukynd (*mitapivat*)

Prezentare generală a Pyrukynd și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Pyrukynd și pentru ce se utilizează?

Pyrukynd este un medicament care se utilizează pentru tratarea adulților cu deficit de piruvat kinază (PKD), o boală ereditară care determină distrugerea mai rapidă decât în mod normal a globulelor roșii.

PKD este rară, iar Pyrukynd a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 22 aprilie 2020. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate orfane pot fi găsite aici: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Pyrukynd conține substanța activă mitapivat.

Cum se utilizează Pyrukynd?

Pyrukynd se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Medicamentul este disponibil sub formă de comprimate pentru administrare orală. Doza inițială recomandată este de un comprimat de 5 mg, luat de două ori pe zi. Doza poate fi mărită o dată la patru săptămâni, în funcție de valoarea hemoglobinei pacientului (proteina din globulele roșii care transportă oxigenul în organism) și de nevoia de transfuzie din ultimele 8 săptămâni. Doza maximă recomandată de Pyrukynd este de 50 mg de două ori pe zi.

Dacă tratamentul trebuie întrerupt sau oprit de tot, doza de Pyrukynd trebuie redusă treptat pe parcursul a 1 – 2 săptămâni.

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

Cum acționează Pyrukynd?

Pacienții cu PKD au o formă deficitară de piruvat kinază, o proteină din globulele roșii care transformă glucoza în energie. Din această cauză, globulele roșii nu pot produce suficientă energie pentru a-și menține forma, ceea ce duce la distrugerea lor înainte ca organismul să aibă timp să le înlocuiască. Această distrugere excesivă a globulelor roșii este numită și anemie hemolitică.

Substanța activă din Pyrukynd, mitapivatul, se leagă de piruvat kinază și o activează, ceea ce o face să acționeze mai eficace, împiedicând astfel distrugerea prea rapidă a globulelor roșii la acești pacienți.

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



Ce beneficii a prezentat Pyrukynd pe parcursul studiilor?

Beneficiile Pyrukynd au fost evaluate în două studii principale. În primul studiu, care a cuprins 80 de pacienți cu PKD care nu primeau în mod regulat transfuzii de sânge, Pyrukynd a fost comparat cu placebo (un preparat inactiv). În acest studiu s-a înregistrat o creștere a valorilor hemoglobinei de 1,5 g/dl, care s-a menținut la 2 sau mai multe controale efectuate după 16, 20 și 24 de săptămâni de tratament, la 40 % din pacienții tratați cu Pyrukynd, în comparație cu niciunul din pacienții tratați cu placebo.

În al doilea studiu, care a cuprins 27 de pacienți care primeau în mod regulat transfuzii de sânge, Pyrukynd nu a fost comparat nici cu placebo, nici cu alte medicamente. În acest studiu, volumul de globule roșii administrat în transfuzii a fost redus cu mai mult de o treime la 37 % din pacienți.

Care sunt riscurile asociate cu Pyrukynd?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Pyrukynd (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt insomnie (dificultăți de somn), greață și niveluri scăzute ale hormonului estron observate în analizele de sânge la pacienții de sex masculin.

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

De ce a fost autorizat Pyrukynd în UE?

Există opțiuni limitate de tratament pentru pacienții cu PKD, deoarece tratamentul bolii este limitat la tratamente de susținere menite să îmbunătățească simptomele și complicațiile asociate cu anemia hemolitică. Deși au existat unele limitări asociate cu studiile principale, s-a demonstrat că Pyrukynd oferă beneficii semnificative din punct de vedere clinic anumitor pacienți cu PKD, prin creșterea valorilor hemoglobinei și reducerea nevoii de transfuzii. Prin urmare, s-a considerat că Pyrukynd răspunde unei nevoi medicale nesatisfăcute la acești pacienți.

În plus, reacțiile adverse asociate cu Pyrukynd sunt considerate gestionabile terapeutic. Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Pyrukynd sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

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

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

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

Alte informații despre Pyrukynd

Informații suplimentare cu privire la Pyrukynd sunt disponibile pe site-ul agenției:

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