



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kygevvi (doxecitín/doxribtimín)

Prehľad o lieku Kygevvi a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Kygevvi a na čo sa používa?

Liek Kygevvi sa používa na liečbu osôb s nedostatkom tymidínkinázy 2 (TK2d), potvrdeným genetickým testom, ktorých príznaky ochorenia sa začali vo veku 12 rokov alebo skôr. TK2d je ochorenie spôsobené mutáciami (zmenami) v géne *TK2*, ktoré vedú k progresívnej svalovej slabosti, strate schopnosti pohybovať sa a chodiť, ťažkostiam s dýchaním a kratšej priemernej dĺžke života.

TK2d je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Kygevvi 20. apríla 2017 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke](#) agentúry EMA.

Liek Kygevvi obsahuje liečivá doxecitín a doxribtimín.

### Ako sa liek Kygevvi používa?

Výdaj lieku Kygevvi je viazaný na lekársky predpis a na liečbu má dohliadať lekár, ktorý má skúsenosti s ochoreniami postihujúcimi mitochondrie, zložky v bunkách produkujúce energiu.

Liek Kygevvi je dostupný vo forme prášku, ktorý sa zmieša s vodou a užíva sa ústami trikrát denne.

Viac informácií o používaní lieku Kygevvi si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo sa obráťte na svojho lekára alebo lekárnika.

### Akým spôsobom liek Kygevvi účinkuje?

Enzým TK2 pomáha vytvárať a udržiavať DNA v mitochondriách. U osôb s TK2d mutácie v TK2 bránia jeho správne fungovaniu. Mitochondrie preto nepracujú tak, ako majú, a svaly nemôžu produkovať dostatok energie, čo vedie k progresívnej svalovej slabosti.

Spôsob, akým liek Kygevvi účinkuje u ľudí, nebol potvrdený. Zo štúdií na zvieratách však vyplýva, že liečivá lieku, doxecitín a doxribtimín (stavebné bloky DNA), sú absorbované svalovými bunkami a stávajú sa súčasťou mitochondriálnej DNA. To pomáha zlepšiť tvorbu a udržiavanie mitochondriálnej DNA. Očakáva sa, že liek Kygevvi tak vykompenzuje zníženú aktivitu TK2 a pomôže spomaliť zhoršovanie svalovej slabosti u ľudí s týmto ochorením.

---

**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



## **Aké prínosy lieku Kygevvi boli preukázané v štúdiách?**

U dospelých a detí s TK2d potvrdeným genetickým testovaním, ktorých príznaky ochorenia sa začali vo veku 12 rokov alebo skôr, liečba liekom Kygevvi umožnila ľuďom znovu dosiahnuť motorické míľniky.

Kedže TK2d je zriedkavé ochorenie, existuje príliš málo pacientov na to, aby sa uskutočnila štúdia porovnávajúca liek Kygevvi s inou liečbou alebo s placebom (zdanlivým liekom). Účinky lieku Kygevvi sa preto posudzovali na základe lekárskych záznamov pacientov a výsledkov štúdie, v ktorej všetci pacienti dostávali liek Kygevvi. Celkovo bolo do hodnotenia zaradených 39 pacientov, ktorých príznaky sa začali vo veku 12 rokov alebo skôr.

Účinok liečby sa posudzoval porovnaním motorických míľnikov, ako je schopnosť sedieť, stáť alebo chodiť, pred začatím a po začatí liečby liekom Kygevvi. Počas liečby približne 84 % pacientov (26 z 31) znova dosiahlo aspoň jeden motorický míľnik, zatiaľ čo približne 26 % pacientov (10 z 38) stratilo aspoň jeden motorický míľnik.

## **Aké sú vedľajšie účinky a obmedzenia lieku Kygevvi?**

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Kygevvi a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Kygevvi (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú hnačka, vracanie a abdominálna (brušná) bolesť.

## **Prečo bol liek Kygevvi povolený v EÚ?**

V čase povolenia lieku nebola schválená žiadna liečba na TK2d a starostlivosť bola obmedzená na podporné opatrenia. Zahŕňali podávanie výživy cez výživovú sondu, fyzioterapiu na podporu pohybu a podporu dýchania pomocou ventilátora.

Preukázalo sa, že liek Kygevvi umožňuje pacientom, ktorých príznaky ochorenia sa začali vo veku 12 rokov alebo skôr, znovu dosiahnuť motorické míľniky. Hoci existovala určitá neistota, pokiaľ ide o veľkosť účinku, opätovné dosiahnutie motorických míľnikov je v prirodzenom priebehu ochorenia zriedkavé. Preto je pravdepodobné, že opätovné dosiahnutie motorických míľnikov bolo spôsobené liečbou liekom Kygevvi. Na základe dostupných údajov nebolo možné preukázať, či má liek Kygevvi vplyv na dĺžku života pacientov. Ďalšie štúdie poskytnú viac informácií na vyriešenie týchto nejasností.

Najčastejšie vedľajšie účinky súviseli s črevami a považovali sa za zvládnuteľné.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Kygevvi sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Liek Kygevvi bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Kygevvi. Spoločnosť musí predložiť ďalšie údaje o lieku Kygevvi. Musí predložiť výsledky novej štúdie na potvrdenie bezpečnosti a účinnosti lieku. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Kygevvi?**

Na bezpečné a účinné používanie lieku Kygevvi boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Kygevi sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Kygevi sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Kygevi**

Ďalšie informácie o lieku Kygevi sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevi](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevi).