



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pyrukynd (*mitapivat*)

Prehľad o lieku Pyrukynd a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Pyrukynd a na čo sa používa?

Pyrukynd je liek, ktorý sa používa na liečbu dospelých s nedostatkom pyruvátkinázy (PKD), dedičným ochorením, ktoré spôsobuje, že červené krvinky sa rozkladajú rýchlejšie ako zvyčajne.

Ochorenie PKD je zriedkavé, a preto bol liek Pyrukynd 22. apríla 2020 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť tu: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Liek Pyrukynd obsahuje liečivo mitapivat.

Ako sa liek Pyrukynd používa?

Výdaj lieku Pyrukynd je viazaný na lekársky predpis. Je k dispozícii vo forme tabliet, ktoré sa užívajú ústami. Odporúčaná začiatková dávka je jedna 5 mg tableta užívaná dvakrát denne. Dávka sa môže zvyšovať každé štyri týždne na základe hladín hemoglobínu pacienta (proteínu v červených krvinkách, ktorý prenáša v tele kyslík) a potreby transfúzie počas predchádzajúcich 8 týždňov. Maximálna odporúčaná dávka lieku Pyrukynd je 50 mg dvakrát denne.

Ak je potrebné liečbu prerušiť alebo zastaviť, dávka lieku Pyrukynd sa má postupne znižovať počas 1 až 2 týždňov.

Viac informácií o používaní lieku Pyrukynd si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

Akým spôsobom liek Pyrukynd účinkuje?

Pacienti s PKD majú chybnú formu pyruvátkinázy, proteínu v červených krvinkách, ktorý premieňa glukózu na energiu. Výsledkom je, že ich červené krvinky nedokážu vyrobiť dostatok energie, aby udržali svoj tvar, čo spôsobuje, že sa rozkladajú pred tým, ako ich telo má čas nahradiť. Tento nadmerný rozpad červených krviniek je známy ako hemolytická anémia.

Liečivo lieku Pyrukynd, mitapivat, sa viaže na pyruvátkinázu a aktivuje ju, vďaka čomu pôsobí účinnejšie, čím sa zabráni príliš rýchlemu rozkladu červených krviniek týchto pacientov.



Aké prínosy lieku Pyrukynd boli preukázané v štúdiách?

Prínosy lieku Pyrukynd sa hodnotili v dvoch hlavných štúdiách. V prvej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 80 pacientov s PKD, ktorí pravidelne nedostávali krvné transfúzie, sa liek Pyrukynd porovnával s placebom (zdanlivým liekom). V tejto štúdii sa u 40 % pacientov liečených liekom Pyrukynd zvýšila hladina hemoglobínu o 1,5 g/dl, čo sa zachovalo pri dvoch alebo viacerých kontrolách uskutočnených po 16, 20 a 24 týždňoch liečby v porovnaní so žiadnym pacientom v skupine liečenej placebom.

V druhej štúdii, na ktorej sa zúčastnilo 27 pacientov, ktorí pravidelne dostávali krvné transfúzie, sa liek Pyrukynd neporovnával s placebom ani so žiadnymi inými liekmi. V tejto štúdii sa objem červených krviniek získaných prostredníctvom transfúzie, znížil viac ako o tretinu u 37 % pacientov.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Pyrukynd?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Pyrukynd (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú insomnie (problémy so spánkom), nauzea (pocit nevoľnosti) a znížená hladina hormónu estrónu, ktoré sa pozorovali v krvných testoch u mužov.

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

Prečo bol liek Pyrukynd povolený v EÚ?

Pacienti s PKD majú obmedzené možnosti liečby, pretože liečba ochorenia je obmedzená na podpornú liečbu na zmiernenie príznakov a komplikácií súvisiacich s hemolytickou anémiou. Napriek určitým obmedzeniam súvisiacim s hlavnými štúdiami sa preukázalo, že liek Pyrukynd poskytuje klinicky významný prínos pre niektorých pacientov s PKD tým, že zvyšuje hladiny hemoglobínu a znižuje potrebu transfúzií. Preto sa usúdilo, že liek Pyrukynd vyriešil nenaplnenú liečebnú potrebu u týchto pacientov.

Vedľajšie účinky lieku Pyrukynd sa okrem toho považujú za zvládnuteľné. Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Pyrukynd sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Pyrukynd?

Na bezpečné a účinné užívanie lieku Pyrukynd 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 užívaní lieku Pyrukynd sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Pyrukynd sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Pyrukynd

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

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