



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kygevvi (doksecitin/doksribtimin)

Pregled zdravila Kygevvi in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Kygevvi in za kaj se uporablja?

Kygevvi je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje genetsko potrjenega pomanjkanja timidin kinaze 2 (TK2d), pri katerih se simptomi bolezni pojavijo pri 12 letih ali prej. TK2d je bolezen, ki jo povzročajo mutacije (spremembe) v genu *TK2*, ki povzročajo napredujočo mišično oslabeledost, izgubo sposobnosti gibanja in hoje, težave z dihanjem in krajšo pričakovano življenjsko dobo.

TK2d je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Kygevvi 20. aprila 2017 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Kygevvi vsebuje učinkovini doksecitin in doksribtimin.

Kako se zdravilo Kygevvi uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Kygevvi je le na recept, zdravljenje z njim pa mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z boleznimi, ki vplivajo na mitohondrije, tj. dele celic, ki proizvajajo celično energijo.

Zdravilo Kygevvi je na voljo v obliki praška, ki se zmeša v vodi in jemlje peroralno trikrat na dan.

Za več informacij glede uporabe zdravila Kygevvi glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Kygevvi deluje?

Encim v genu *TK2* pomaga proizvajati in ohranjati DNK v mitohondrijih. Pri ljudeh s pomanjkanjem timidin kinaze 2 (TK2d) mutacije v genu *TK2* preprečujejo njegovo pravilno delovanje. Mitohondriji zato ne delujejo, kot bi morali, mišice pa ne morejo proizvesti dovolj energije, kar povzroča napredujočo mišično oslabeledost.

Način delovanja zdravila Kygevvi pri ljudeh še ni bil potrjen. Vendar študije na živalih kažejo, da mišične celice absorbirajo njegovi učinkovini, doksecitin in doksribtimin (gradnika DNK), ki postaneta del mitohondrijske DNK. S tem se izboljša tvorba in ohranjanje mitohondrijske DNK. Tako naj bi zdravilo Kygevvi nadomestilo zmanjšano aktivnost gena *TK2* in pomagalo upočasniti napredovanje mišične oslabeledosti pri bolnikih s to boleznijo.

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



Kakšne koristi zdravila Kygevvii so se pokazale v študijah?

Pri odraslih in otrocih z genetsko potrjeno pomanjkanjem timidin kinaze 2 (TK2d), pri katerih so se simptomi bolezni pojavili pri 12 letih ali prej, je zdravljenje z zdravilom Kygevvii omogočilo, da so ponovno pridobili motorične sposobnosti.

Ker je TK2d redka bolezen, je premalo bolnikov, da bi izvedli študijo, v kateri bi zdravilo Kygevvii primerjali z drugim zdravilom ali placebom (zdravilom brez učinkovine). Učinki zdravila Kygevvii so bili zato ocenjeni na podlagi zdravstvene kartoteke bolnikov in rezultatov študije, v kateri so vsi bolniki prejeli to zdravilo. V vrednotenju je bilo vključenih skupno 39 bolnikov, pri katerih so se simptomi pojavili pri 12 letih ali prej.

Učinek zdravljenja so ocenili s primerjavo motoričnih sposobnosti, kot je sposobnost sedenja, stanja ali hoje, pred začetkom zdravljenja z zdravilom Kygevvii in po njem. Med zdravljenjem je približno 84 % (26 od 31) bolnikov ponovno pridobilo vsaj eno motorično sposobnost, medtem ko jih je približno 26 % (10 od 38) vsaj eno izgubilo.

Kakšni so neželeni učinki in omejitve pri uporabi zdravila Kygevvii?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Kygevvii glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Kygevvii (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 oseb) so driska, bruhanje in bolečine v trebuhu.

Zakaj je bilo zdravilo Kygevvii odobreno v EU?

V času izdaje dovoljenja za promet z zdravilom ni bilo odobrenega zdravljenja za pomanjkanje timidin kinaze 2, oskrba pa je bila omejena na podporne ukrepe. Ti so vključevali podporo pri hranjenju po cevki, fizioterapijo za podporo gibanju in ventilacijsko podporo.

Dokazano je bilo, da zdravilo Kygevvii bolnikom, pri katerih se simptomi bolezni pojavijo pri 12 letih ali prej, omogoča, da ponovno pridobijo motorične sposobnosti. Čeprav je obstajala določena negotovost glede obsega učinka, je ponovna pridobitev motoričnih sposobnosti pri naravnem poteku bolezni redka. Zato je verjetno, da je ponovna pridobitev motoričnih sposobnosti posledica zdravljenja z zdravilom Kygevvii. Na podlagi razpoložljivih podatkov ni bilo mogoče dokazati, ali zdravilo Kygevvii vpliva na čas preživetja bolnikov. Nadaljnje študije bodo zagotovile več informacij za odpravo teh negotovosti.

Najpogostejši neželeni učinki so bili povezani s črevesjem in so bili ocenjeni kot obvladljivi.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Kygevvii večje od z njim povezanih tveganj in da se zdravilo lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Kygevvii je bilo odobreno v izjemnih okoliščinah. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh podatkov o tem zdravilu. Podjetje mora predložiti dodatne podatke o zdravilu Kygevvii, in sicer rezultate nove študije za potrditev varnosti in učinkovitosti zdravila. Agencija EMA bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Kygevi?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Kygevi upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Kygevi stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Kygevi, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Kygevi

Nadaljnje informacije o zdravilu Kygevi so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kygevi.