



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Pyrukynd (*mitapivat*)

Pregled zdravila Pyrukynd in zakaj je odobreno v EU

### Kaj je zdravilo Pyrukynd in za kaj se uporablja?

Pyrukynd je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje odraslih s pomanjkanjem piruvat kinaze (PK), tj. dedno boleznijo, zaradi katere se rdeče krvne celice razgrajujejo hitreje kot običajno.

Ker je pomanjkanje piruvat kinaze redka bolezen, je bilo zdravilo Pyrukynd 22. aprila 2020 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete tukaj: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Zdravilo Pyrukynd vsebuje učinkovino mitapivat.

### Kako se zdravilo Pyrukynd uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Pyrukynd je le na recept. Na voljo je v obliki tablet, ki se jemljejo peroralno. Priporočeni začetni odmerek je ena 5-miligramska tableta dvakrat na dan. Odmerek se lahko zveča vsake štiri tedne glede na bolnikove ravni hemoglobina (beljakovine v rdečih krvnih celicah, ki prenaša kisik po telesu) in njegovo potrebo po transfuziji v predhodnih osmih tednih. Največji priporočeni odmerek zdravila Pyrukynd je 50 mg dvakrat na dan.

Če je treba zdravljenje prekiniti ali popolnoma ukiniti, je treba odmerek zdravila Pyrukynd zmanjševati postopoma v enem do dveh tednih.

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

### Kako zdravilo Pyrukynd deluje?

Bolniki s pomanjkanjem piruvat kinaze imajo okvarjeno obliko piruvat kinaze, tj. beljakovine v rdečih krvnih celicah, ki pretvarja glukozo v energijo. Zato njihove rdeče krvne celice ne morejo proizvesti dovolj energije, da bi zadržale svojo obliko, zaradi česar se razgradijo, preden jih telo lahko nadomesti. Ta čezmerna razgradnja rdečih krvnih celic je znana kot hemolitična anemija.

Učinkovina v zdravilu Pyrukynd, mitapivat, se veže na piruvat kinazo in jo aktivira ter tako povzroči učinkovitejše delovanje in s tem prehitro razgradnjo rdečih krvnih celic pri teh bolnikih.

---

**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



## **Kakšne koristi zdravila Pyrukynd so se pokazale v študijah?**

Koristi zdravila Pyrukynd so ocenjevali v dveh glavnih študijah. V prvi študiji, v katero je bilo vključenih 80 bolnikov s pomanjkanjem piruvat kinaze, ki niso redno prejeli transfuzij krvi, so zdravilo Pyrukynd primerjali s placebom (zdravilom brez učinkovine). V tej študiji se je pri 40 % bolnikov, zdravljenih z zdravilom Pyrukynd, raven hemoglobina dvignila za 1,5 g/dl. Ta se je ohranila pri dveh ali več pregledih, opravljenih v 16., 20. in 24. tednu zdravljenja, v primerjavi z nobenim bolnikom, ki so prejeli placebo.

V drugi študiji, v katero je bilo vključenih 27 bolnikov, ki so redno prejeli transfuzije krvi, zdravila Pyrukynd niso primerjali s placebom ali drugimi zdravili. V tej študiji se je količina rdečih krvnih celic, ki so jih prejeli pri transfuzijah, zmanjšala za več kot tretjino pri 37 % bolnikov.

## **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Pyrukynd?**

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Pyrukynd (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 bolniku od 10) so nespečnost (težave s spanjem), navzeja (siljenje na bruhanje) in znižane ravni hormona estrona, ki jih opazimo v krvnih preiskavah pri moških.

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

## **Zakaj je bilo zdravilo Pyrukynd odobreno v EU?**

Za bolnike s pomanjkanjem piruvat kinaze so možnosti zdravljenja omejene, saj je zdravljenje boleznih omejeno na podporno zdravljenje za izboljšanje simptomov in zapletov, povezanih s hemolitično anemijo. Čeprav so bile z glavnima študijama povezane nekatere omejitve, je bilo dokazano, da zdravilo Pyrukynd s povečanjem ravni hemoglobina in zmanjšanjem potrebe po transfuzijah zagotavlja klinično pomembne koristi nekaterim bolnikom s pomanjkanjem piruvat kinaze. Zato je bilo ocenjeno, da zdravilo Pyrukynd zadovoljuje neizpolnjene zdravstvene potrebe teh bolnikov.

Poleg tega se neželeni učinki zdravila štejejo za obvladljive. Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Pyrukynd večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

## **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Pyrukynd?**

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Pyrukynd 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 Pyrukynd stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Pyrukynd, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

## **Druge informacije o zdravilu Pyrukynd**

Nadaljnje informacije za zdravilo Pyrukynd so na voljo na spletni strani agencije:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd).