



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kygevvi (doxecitin/doxribtimin)

Sammanfattning av Kygevvi och varför det är godkänt inom EU

### Vad är Kygevvi och vad används det för?

Kygevvi är ett läkemedel som används för att behandla personer med tymidinkinas 2-brist (TK2d) vars symtom på sjukdomen började vid eller före 12 års ålder och vars sjukdom bekräftats genom genetiska tester. TK2d är ett tillstånd som orsakas av mutationer (förändringar) i TK2-genen, som leder till progressiv muskelsvaghet, förlorad förmåga att röra sig och gå, andningssvårigheter och kortare förväntad livslängd.

TK2d är sällsynt och Kygevvi klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 20 april 2017. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på EMA:s [webbplats](#).

Kygevvi innehåller de aktiva substanserna doxecitin och doxribtimin.

### Hur används Kygevvi?

Kygevvi är receptbelagt och behandlingen ska övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla tillstånd som påverkar mitokondrierna, de energialstrande komponenterna i cellerna.

Kygevvi finns som ett pulver som blandas i vatten och tas genom munnen tre gånger om dagen.

För mer information om hur du använder Kygevvi, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

### Hur verkar Kygevvi?

TK2-enzymet hjälper till att producera och bevara DNA inuti mitokondrierna. Personer med TK2d har mutationer i TK2 som hindrar enzymet från att fungera korrekt. Mitokondrierna fungerar därför inte som de ska och musklerna kan inte producera tillräckligt med energi, vilket leder till progressiv muskelsvaghet.

Kygevvis verkningsätt hos människa har inte bekräftats. Djurstudier tyder dock på att dess aktiva substanser, doxecitin och doxribtimin (DNA-byggstenar), tas upp av muskelceller och blir en del av mitokondriellt DNA. Detta bidrar till att förbättra produktionen och underhållet av mitokondriellt DNA. På så sätt förväntas Kygevvi kompensera för minskad TK2-aktivitet och bidra till att bromsa försämringen av muskelsvagheten hos personer med sjukdomen.

**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



## **Vilka fördelar med Kygevvil har visats i studierna?**

Hos vuxna och barn med TK2d vars symtom på sjukdomen började vid eller före 12 års ålder och vars sjukdom bekräftats genom genetiska tester ledde behandling med Kygevvil till att patienterna kunde återfå viktiga delar av sin motoriska förmåga.

Eftersom TK2d är en sällsynt sjukdom finns det inte tillräckligt med patienter för att man ska kunna utföra en studie där Kygevvil jämförs med andra behandlingar eller med placebo (overksam behandling). Effekterna av Kygevvil bedömdes därför genom att man tittade på patienternas patientjournaler och på resultaten av en studie där alla patienter fick Kygevvil. Studien omfattade sammanlagt 39 patienter vars symtom hade börjat vid eller före 12 års ålder.

Effekten av behandlingen bedömdes genom att viktiga aspekter av den motoriska förmågan, såsom förmågan att sitta, stå eller gå, jämfördes före och efter det att behandlingen med Kygevvil inletts. Under behandlingen återfick omkring 84 procent av patienterna (26 av 31) minst en viktig aspekt av den motoriska förmågan, medan omkring 26 procent (10 av 38) förlorade minst en sådan aspekt.

## **Vilka är biverkningarna och begränsningarna med Kygevvil?**

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Kygevvil finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Kygevvil (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är diarré, kräkningar och buksmärta (magont).

## **Varför är Kygevvil godkänt i EU?**

Vid tidpunkten för godkännandet fanns det ingen godkänd behandling för TK2d, och vården var begränsad till stödjande åtgärder såsom näringstillförsel genom en matningssond, sjukgymnastik för att stödja rörelseförmågan och andningsstöd med hjälp av respirator.

Behandling med Kygevvil visades möjliggöra för patienter vars sjukdomssymtom börjat vid eller före 12 års ålder att återfå viktiga aspekter av den motoriska förmågan. Även om det rådde viss osäkerhet om effektens omfattning är det sällsynt att patienter med TK2d återfår förlorade delar av sin motoriska förmåga i sjukdomens naturliga förlopp. Det är därför troligt att patienternas förbättring av sin motoriska förmåga berodde på behandling med Kygevvil. De tillgängliga uppgifterna visade inte om Kygevvil påverkar hur länge patienterna lever. Ytterligare studier kommer att ge mer information för att bringa klarhet i fråga om dessa osäkerhetsfaktorer.

De vanligaste biverkningarna var tarmrelaterade och ansågs vara hanterbara.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Kygevvil är större än riskerna och att Kygevvil kan godkännas för försäljning i EU.

Kygevvil har godkänts enligt reglerna om godkännande i undantagsfall. Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Kygevvil eftersom sjukdomen är sällsynt. Företaget måste lämna ytterligare uppgifter om Kygevvil. Det måste lämna in resultaten av en ny studie för att bekräfta läkemedlets säkerhet och effekt. EMA kommer att granska ny information om produkten varje år.

## **Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Kygevvil?**

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Kygevvil har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Kygevi kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Kygevi utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

## **Mer information om Kygevi**

Mer information om Kygevi finns på EMA:s webbplats:

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