



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Pyrukynd (*mitapivat*)

Sammanfattning av Pyrukynd och varför det är godkänt inom EU

Vad är Pyrukynd och vad används det för?

Pyrukynd är ett läkemedel som används för att behandla vuxna med pyruvatinkinasbrist (PKD), en ärftlig sjukdom som innebär att de röda blodkropparna bryts ner snabbare än normalt.

PKD är sällsynt och Pyrukynd klassificerades som sällsynt läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 22 april 2020. Mer information om klassificeringen som sällsynt läkemedel finns här: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2270>.

Pyrukynd innehåller den aktiva substansen mitapivat.

Hur används Pyrukynd?

Pyrukynd är receptbelagt. Det finns som tabletter som ska tas genom munnen. Den rekommenderade startdosen är en tablett på 5 mg två gånger om dagen. Dosen kan ökas var fjärde vecka utifrån patientens nivåer av hemoglobin (proteinet i de röda blodkropparna som transporterar syre i kroppen) och beroende på huruvida patienten behövt genomgå en transfusion under de föregående 8 veckorna. Den högsta rekommenderade dosen är 50 mg Pyrukynd två gånger om dagen.

Om behandlingen måste avbrytas eller stoppas helt bör dosen av Pyrukynd sänkas gradvis under en period på 1–2 veckor.

För mer information om hur Pyrukynd används, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Pyrukynd?

Patienter med PKD har en defekt form av pyruvatkinas, ett protein i de röda blodkropparna som omvandlar glukos till energi. Detta gör att de röda blodkropparna inte kan producera tillräckligt med energi för att behålla sin form, vilket gör att de bryts ner i så snabb takt att kroppen inte hinner ersätta dem med nya. Denna alltför stora nedbrytning av röda blodkroppar kallas hemolytisk anemi.

Den aktiva substansen i Pyrukynd, mitapivat, binder till och aktiverar pyruvatkinas. På så sätt förbättras funktionen hos detta protein, vilket i sin tur gör att de röda blodkropparna hos dessa patienter inte längre bryts ner för snabbt.

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



Vilka fördelar med Pyrukynd har visats i studierna?

Fördelarna med Pyrukynd utvärderades i två huvudstudier. I den första studien, som omfattade 80 patienter med PKD som inte fick regelbundna blodtransfusioner, jämfördes Pyrukynd med placebo (overksam behandling). I denna studie uppvisade 40 procent av patienterna som behandlades med Pyrukynd en ökning av sina hemoglobinnivåer på 1,5 g/dl. Vid två eller fler kontroller som utfördes efter 16, 20 och 24 veckors behandling kunde man konstatera att denna ökning bibehölls, medan ingen av patienterna i placebogruppen uppvisade någon sådan ökning.

I den andra studien, som omfattade 27 patienter som fick blodtransfusioner med jämna intervall, jämfördes Pyrukynd varken med placebo eller med något annat läkemedel. I denna studie minskade antalet röda blodkroppar som fick transfusioner med mer än en tredjedel hos 37 procent av patienterna.

Vilka är riskerna med Pyrukynd?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Pyrukynd (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är sömnsvårigheter, illamående och sjunkande nivåer av hormonet östron hos manliga patienter (vilket konstaterades genom blodprov).

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

Varför är Pyrukynd godkänt i EU?

Behandlingsalternativen för patienter med PKD är begränsade eftersom de endast består av stödjande behandling för att lindra symtomen och komplikationerna vid hemolytisk anemi. Även om huvudstudierna hade vissa begränsningar räcker de för att visa att Pyrukynd genom att öka hemoglobinnivåerna och minska behovet av transfusioner ger kliniskt meningsfulla fördelar för vissa patienter med PKD. Det ansågs därför att Pyrukynd uppfyllde ett otillfredsställt medicinskt behov hos dessa patienter.

Biverkningarna av Pyrukynd anses dessutom vara hanterbara. Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Pyrukynd är större än riskerna och att Pyrukynd kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Pyrukynd?

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

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

Mer information om Pyrukynd

Mer information om Pyrukynd finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/pyrukynd