# VYKAT™ XR – ETT NYTT LÄKEMEDEL MOT HYPERFAGI VID PRADER–WILLI SYNDROM

## Introduktion

Vykat™ XR är ett läkemedel utvecklat för att minska hyperfagi. Det är redan godkänt i USA för behandling av hyperfagi hos barn (≥4 år) och vuxna med Prader–Willi syndrom. Ansökan för godkännande i EU granskas nu av den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA). Först när EMA har godkänt läkemedlet kan det bli tillgängligt i EU-länder, inklusive Sverige. Därefter krävs även nationella beslut om pris och subvention. Från USA rapporteras en kostnad på cirka 4,5 milljoner/år/person.

## Verkningsmekanism

Diazoxid choline extended-release (DCCR), den aktiva substansen i Vykat™ XR, är en långverkande variant av läkemedlet diazoxid.

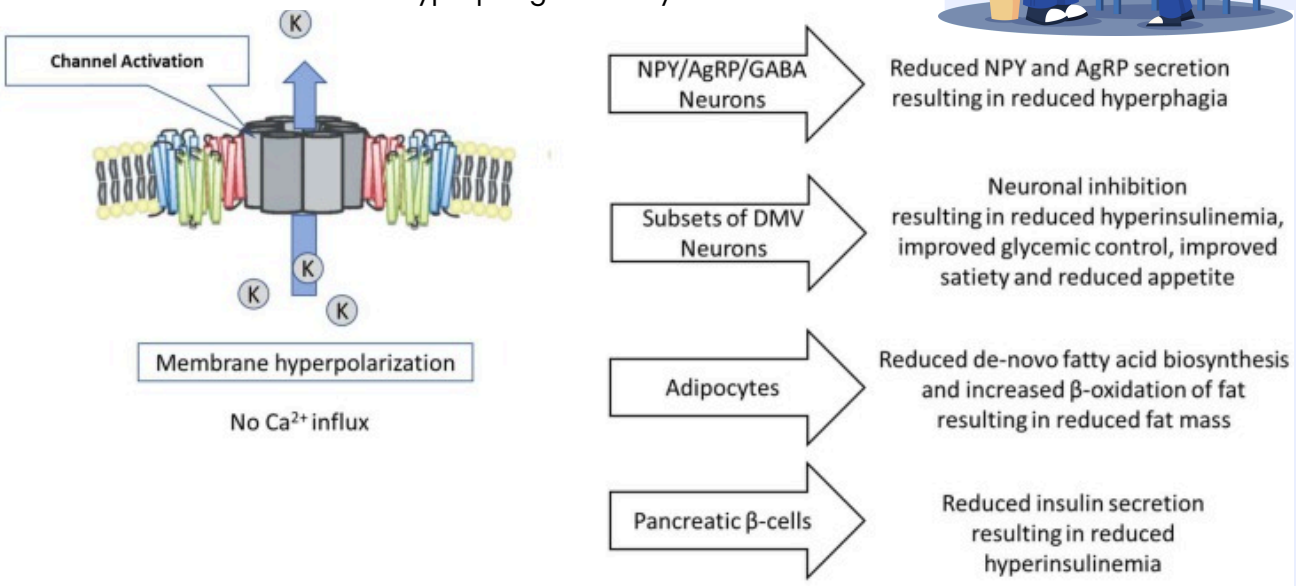
Läkemedlet verkar genom att:

- Minska frisättningen av de aptitstimulerande signalämnena NPY och AgRP.
- Påverka Vagusnervens funktion (styr delar av matsmältningssystemet).
- Påverka bukspottkörtelns betaceller.
- Påverka fettceller (adipocyter).

Resultat på fysiologisk nivå:

- Minskad insulinproduktion.
- Minskad fettinlagring.
- Ökat blodsocker.

Dessa effekter är visade i djurstudier, bland annat i en musmodell för Prader–Willi syndrom.
Källa: The potential role of activating the ATP-sensitive potassium channel in the treatment of hyperphagic obesity




## Författare


***Charlotte Höybye,*** **endokrinolog, Karolinska Universitetssjukhuset**
***Ricard Nergårdh,*** **barnendokrinolog, Karolinska Universitetssjukhuset och Akademiska Universitessjukhuset**
***Madeleine Rouhi,*** **Karolinska Institutet, Läkarstudent.**

# KLINISKA STUDIER

## Korttidsstudie (13 veckor, dubbelblind)

127 personer med PWS och svår hyperfagi deltog. Effekt på hyperfagi:

- Ingen skillnad i hela gruppen.
- Före covid-19-pandemin: statistisk säkerställd förbättring jämfört med overksamt ämne (placebo).
- Hos en liten grupp av patienter med extremt svår hyperfagi från början: statistisk säkerställd förbättring oavsett pandemi eller ej.

Källa: Miller JL et al. J Clin Endocrinol Metab. 2023;108(7):1676-1685

## Öppen förlängingsstudie där kontrollgrupp saknas(1 år, öppen förlängning)

Efter den första studien fick samtliga deltagare behandling med Vykat™ XR under ett år. Resultat:

- Ingen förändrad BMI
- Positiv effekt på kroppskonstitution
- Statistisk säkerställd minskning i hyperfagi.
- Störst förbättring hos patienter med uttalad hyperfagi från början.
- Även hos patienter med måttlig hyperfagi förbättrades, men inte lika mycket.
- Biverkningar i form av ökad behåring (60%), ödem (svullnad) (30%) och förhöjda blodsocker (22%) var vanligt

## Sammanfattande möjliga positiva slutsatser

- Förbättring hos personer med måttlig-svår hyperfagi.
- Förbättrat beteende, inklusive minskad ångest, aggressivitet och tvång.
- Positiv påverkan på kroppssammansättning (minskad fettmassa, ökad muskelmassa).
- Fördelaktiga effekter på hormoner och metabolism.

Källa: Miller JL et al. Obesity (Silver Spring). 2024;32(2):252-261.

## Säkerhet och biverkningar

Studierna visade att Vykat™ XR generellt är väl tolererat, även vid behandling över ett år. Företaget bakom läkemedlet (Soleno) rapporterar att inga nya säkerhetssignaler har identifierats.

De vanligaste biverkningarna är:

- Ökad hårväxt (hypertrikos): cirka 60 %, oftast mild.
- Svullnad (perifert ödem): cirka 30 %, i regel övergående och ibland behandlad med dosjustering eller vätskedrivande läkemedel.
- Förhöjt blodsocker (hyperglykemi): cirka 22 %, för de flesta med en ökning fram till vecka 26 som därefter återgick mot basnivå vid vecka 65.
- 15 av 125 patienter behövde insättning av blodsockersänkande läkemedel.

Två av 125 patienter avbröt långtidsstudien på grund av biverkningar.
Systematiska data för effekt och biverkningar utan för studier saknas.

Källa: Doe J, Smith A, et al. Long-term safety and tolerability of diazoxide choline extended-release in Prader-Willi syndrome: Results through 52 weeks. PMC, NCBI.
https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC12181816/