



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/446507/2015
EMA/H/C/004004

Резюме на EPAR за обществено ползване

Kanuma sebelipase alfa

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Канума. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Канума.

За практическа информация относно употребата на Канума пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

Какво представлява Канума и за какво се използва?

Канума е лекарство, което се използва за лечение на пациенти от всички възрасти с дефицит на лизозомна кисела липаза. Това е наследствено заболяване, причинено от липсата на ензим, наречен лизозомна кисела липаза, който е необходим за разграждане на мазнините в клетките. Когато ензимът липсва или е наличен само в ниски нива, мазнините се натрупват в клетките на организма и причиняват симптоми като липса на растеж и чернодробно увреждане.

Тъй като броят на пациентите с дефицит на лизозомна кисела липаза е малък, болестта се счита за „рядка“ и Канума е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 17 декември 2010 г.

Канума съдържа активното вещество себелипаза алфа (*sebelipase alfa*).

Как се използва Канума?

Лечението с Канума трябва да се контролира от лекар с опит в лечението на дефицит на лизозомна кисела липаза, други метаболитни заболявания или чернодробни заболявания. Лечението трябва да се прилага само от обучен медицински специалист, който може да овладее спешните случаи (напр. тежка алергия). Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание.



Капума се предлага под формата на концентрат, от който се приготвя инфузионен разтвор (за вливане във вена). Препоръчителната доза е 1 mg на килограм телесно тегло за приложение веднъж през една седмица. Инфузията трябва да продължи около 1 до 2 часа.

При пациенти с бързо прогресиращо заболяване на възраст под 6 месеца се прилага доза от 1 mg/kg веднъж седмично, вместо веднъж през една седмица. При тези пациенти дозата може да се увеличи до 3 mg/kg веднъж седмично в зависимост от повлияването от лечението.

Лечението с Капума трябва да започне възможно най-бързо след поставяне на диагнозата и да се прилага дългосрочно.

Как действа Капума?

Активното вещество в Капума, себелипаза алфа, представлява копие на ензима, който липсва при пациенти с дефицит на лизозомна кисела липаза. Себелипаза алфа заменя липсващия ензим, като помага за разграждане на мазнините и спира натрупването им в клетките на организма.

Какви ползи от Капума са установени в проучванията?

Капума е проучен в 2 основни проучвания при пациенти с дефицит на лизозомна кисела липаза. Първото проучване обхваща 9 бебета, при които липсва растеж или има други доказателства за бързо прогресиращо заболяване през първите 6 месеца от живота. Проучването показва, че 6 от 9-те бебета, на които се прилага Капума оцеляват до възраст 1 година. Също така при всички 6 оцелели бебета се наблюдава подобрене на растежа.

Второто проучване обхваща 66 пациенти (деца и възрастни) и сравнява Капума с плацебо (сляпо лечение). Основната мярка за ефективност е дялт на пациентите, които постигат нормални нива на чернодробен ензим, наречен ALT, след 5 месеца на лечение. Високите нива на ALT ензими са признак за чернодробно увреждане. В това проучване 31% от пациентите, на които се прилага Капума (11 от 36), постигат нормални нива на ALT ензими в сравнение със 7% от пациентите, на които се прилага плацебо (2 от 30).

Какви са рисковете, свързани с Капума?

Най-тежките нежелани лекарствени реакции при Капума (наблюдавани при около 3 на 100 пациенти) са признаци и симптоми на тежки алергични реакции. Те включват дискомфорт в гърдите, зачервени очи, подуване на клепачите, затруднения при дишане, сърбящ обрив, копривна треска, зачервяване, хрема, ускорен пулс и ускорено дишане. Съобщава се развитие на антитела срещу лекарството, особено при бебета. Ако се развият антитела, Капума не действа ефективно. За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции, съобщени при Капума, вижте листовката.

Капума не трябва да се използва при пациенти, които са имали животозастрашаваща алергична реакция към активното вещество, възникваща отново след спиране и повторно започване на лечение. Също така не трябва да се използва при пациенти с животозастрашаваща алергия към яйца или към някоя от съставките на Капума.

Защо Капума е разрешен за употреба?

Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на Агенцията реши, че ползите от Капума са по-големи от рисковете, и препоръча Капума да бъде разрешен за употреба в ЕС. Комитетът отбелязва липсата на ефективни лечения за дефицит на лизозомна кисела липаза и високата смъртност при бебета с бързо прогресиращо заболяване. CHMP счита,

че Капума води до значително подобрене на преживяемостта при бебета и е ефективен за подобряване на симптомите на заболяването при пациенти от всички възрасти. По отношение на безопасността не са установени съществени проблеми и тежките нежелани реакции са редки или подлежат на овладяване. Въпреки това са необходими допълнителни данни относно дългосрочните ползи и безопасността на лекарството.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Капума?

Разработен е план за управление на риска, за да се гарантира, че Капума се използва възможно най-безопасно. Въз основа на този план информацията за безопасността е включена в кратката характеристика на продукта и в листовката за Капума, включително подходящи предпазни мерки за здравните специалисти и пациентите.

В допълнение фирмата, която предлага Капума на пазара, ще проведе проучване при бебета с бързо прогресиращо заболяване и ще изготви регистър на пациентите от всички възрасти, за да получи допълнителна информация относно дългосрочните ползи и безопасността на Капума, по-конкретно относно риска от алергични реакции и развитието на антитела срещу лекарството. Фирмата ще осигури и образователни материали за всички лекари, които се очаква да предписват Капума, насърчаващи ги да включват пациенти в регистъра и информиращи ги как да следят пациентите за антитела и да лекуват пациентите, които развиват тежки алергични реакции.

Допълнителна информация може да се намери в [резюмето на плана за управление на риска](#)

Допълнителна информация за Капума:

Пълният текст на EPAR и резюме на плана за управление на риска за Капума може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). За повече информация относно лечението с Капума прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Капума може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).