



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Kanuma

sebelipasum alfa

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Kanuma. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Kanuma používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Kanuma, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

Co je Kanuma a k čemu se používá?

Kanuma je léčivý přípravek používaný k léčbě pacientů všech věkových skupin s deficitem lysozomální kyselé lipázy. Jedná se o vrozené onemocnění způsobené nedostatkem enzymu zvaného lysozomální kyselá lipáza, který je nutný k odbourávání tuků v buňkách. Pokud enzym chybí nebo je přítomen jen v malém množství, tuky se hromadí v tělních buňkách a vyvolávají příznaky, jako jsou poruchy růstu a poškození jater.

Jelikož počet pacientů s deficiencí lysozomální kyselé lipázy je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Kanuma byl dne 17. prosince 2010 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Přípravek Kanuma obsahuje léčivou látku sebelipázu alfa.

Jak se přípravek Kanuma používá?

Léčba léčivým přípravkem Kanuma by měla probíhat pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s léčbou deficitu lysozomální kyselé lipázy, jiných metabolických chorob nebo onemocnění jater. Přípravek by měl podávat vyškolený zdravotnický pracovník, který umí řešit naléhavé zdravotní případy (jako je závažná alergie). Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.



Přípravek Kanuma je k dispozici ve formě koncentrátu pro přípravu infuzního roztoku (kapání) do žíly. Doporučená dávka je 1 mg na kilogram tělesné hmotnosti a podává se jednou za dva týdny. Infuze by měla být podávána přibližně po dobu 1 až 2 hodin.

U pacientů s rychle postupujícím onemocněním ve věku do 6 měsíců se podává dávka 1 mg/kg jednou týdně, nikoliv jednou za dva týdny. U těchto pacientů lze dávku v závislosti na odpovědi na léčbu zvýšit na 3 mg/kg jednou týdně.

Přípravek Kanuma je třeba začít podávat co nejdříve po stanovení diagnózy a je určen k dlouhodobému užívání.

Jak přípravek Kanuma působí?

Léčivá látka v přípravku Kanuma, sebelipáza alfa, je kopií enzymu, který pacientům s deficitem lysozomální kyselé lipázy chybí. Sebelipáza alfa nahrazuje chybějící enzym, čímž pomáhá odbourávat tuky a brání jejich hromadění v tělních buňkách.

Jaké přínosy přípravku Kanuma byly prokázány v průběhu studií?

Přípravek Kanuma byl hodnocen ve 2 hlavních studiích u pacientů s deficitem lysozomální kyselé lipázy. První studie zahrnovala 9 kojenců s poruchou růstu nebo jinými projevy rychle postupujícího onemocnění v prvních 6 měsících života. Studie ukázala, že 6 z 9 kojenců, kteří užívali přípravek Kanuma, se dožilo 1 roku věku. U všech 6 přeživších kojenců bylo také pozorováno zlepšení růstu.

Druhá studie, do které bylo zařazeno 66 pacientů (dětí a dospělých), porovnávala přípravek Kanuma s placebem (léčbou neúčinným přípravkem). Hlavním měřítkem účinnosti byl podíl pacientů, kteří po 5 měsících léčby dosáhli normální hladiny jaterního enzymu zvaného ALT. Vysoká hladina enzymu ALT je známkou poškození jater. V této studii dosáhlo normální hladiny enzymu ALT 31 % pacientů, kteří užívali přípravek Kanuma (11 z 36), oproti 7 % pacientů, kteří dostávali placebo (2 z 30).

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Kanuma?

Nejzávažnějšími nežádoucími účinky přípravku Kanuma (pozorovaným přibližně u 3 pacientů ze 100) jsou známky a příznaky závažných alergických reakcí. Zahrnují hrudní dyskomfort, zarudlé oči, otok očních víček, obtížné dýchání, svědivou vyrážku, kopřivku, návaly horka, rýmu, rychlý srdeční tep a rychlé dýchání. Bylo také hlášeno vytvoření protilátek proti léčivému přípravku, zejména u kojenců. Pokud dojde k tvorbě protilátek, přípravek Kanuma nemusí být účinný. Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Kanuma je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Kanuma nesmějí užívat pacienti, u nichž byla zaznamenána život ohrožující alergická reakce na léčivou látku, která se znovu objevila po ukončení a opětovném zahájení léčby. Rovněž ho nesmějí užívat pacienti s život ohrožující alergií na vejce nebo jakoukoliv složku přípravku Kanuma.

Na základě čeho byl přípravek Kanuma schválen?

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury rozhodl, že přínosy přípravku Kanuma převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby byl schválen k použití v EU. Výbor upozornil na absenci účinné léčby deficitu lysozomální kyselé lipázy a na vysokou úmrtnost kojenců s rychle postupujícím onemocněním. Výbor CHMP usoudil, že přípravek Kanuma vede k významnému zlepšení přežití u kojenců a že je účinný při zmírňování příznaků onemocnění u pacientů všech věkových skupin. Z hlediska bezpečnosti nebyly zjištěny žádné významné problémy a závažné nežádoucí účinky byly vzácné nebo zvládnutelné. Nicméně jsou potřeba další údaje o dlouhodobém přínosu a bezpečnosti tohoto léčivého přípravku.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Kanuma?

K zajištění co nejbezpečnějšího používání přípravku Kanuma byl vypracován plán řízení rizik. Na základě tohoto plánu byly do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace přípravku Kanuma zahrnuty informace o bezpečnosti, včetně příslušných opatření, která by měli dodržovat zdravotníci pracovníci i pacienti.

Kromě toho společnost, která přípravek Kanuma dodává na trh, provádí studii u kojenců s rychle postupujícím onemocněním a vytvoří registr pacientů všech věkových skupin k získávání dalších informací o dlouhodobém přínosu a bezpečnosti přípravku Kanuma, zejména o riziku alergických reakcí a vytvoření protilátek proti tomuto léčivému přípravku. Společnost rovněž poskytne všem lékařům, u nichž se předpokládá, že budou přípravek Kanuma předepisovat, vzdělávací materiál, který bude nabádat k zařazení pacientů do registru a bude informovat o tom, jak u pacientů monitorovat protilátky a jak postupovat u pacientů, u nichž se rozvine závažná alergická reakce.

Další informace jsou uvedeny ve [shrnutí plánu řízení rizik](#).

Další informace o přípravku Kanuma

Plné znění zprávy EPAR a shrnutí plánu řízení rizik pro přípravek Kanuma je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Další informace o léčbě přípravkem Kanuma naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Kanuma vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.