



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/368297/2024
EMA/H/C/006462

Kayfanda (*odevixibat*)

Přehled pro přípravek Kayfanda a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Kayfanda a k čemu se používá?

Kayfanda je léčivý přípravek, který se používá u pacientů ve věku 6 měsíců a starších k léčbě cholestatického pruritu (intenzivního svědění v důsledku nahromadění žluči) způsobeného Alagillovým syndromem.

Alagillov syndrom je dědičné onemocnění, při kterém žluč (tekutina tvořená v játrech, která pomáhá odbourávat tuky) nemůže z jater řádně odtékat, což vede k hromadění žlučových kyselin v játrech a krvi. Jedním z příznaků tohoto hromadění je cholestatický pruritus.

Přípravek Kayfanda obsahuje léčivou látku odevixibat.

Jak se přípravek Kayfanda používá?

Výdej přípravku Kayfanda je vázán na lékařský předpis. Léčbu musí zahájit a sledovat lékař, který má zkušenosti s léčbou Alagillova syndromu.

Přípravek Kayfanda je k dispozici ve formě tobolek určených k užití ústy, nebo je možné tobolku otevřít a její obsah vysypat na pokrm nebo do tekutiny. Užívá se jednou denně. Dávka závisí na tělesné hmotnosti pacienta.

Dávku přípravku Kayfanda je možné snížit, pokud léčba způsobuje závažný průjem trvající déle než tři dny nebo pokud je nutné k léčbě dehydratace způsobené průjmem doplňovat tekutiny intravenózně (do žíly). Jakmile tyto reakce ustoupí, je možné dávku zvýšit.

Více informací o používání přípravku Kayfanda naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Kayfanda působí?

Léčivá látka v přípravku Kayfanda, odevixibat, blokuje působení bílkoviny známé jako ileální transportér žlučových kyselin (IBAT), která pomáhá přepravovat žlučové kyseliny ze střev zpět do krve a jater. Blokováním IBAT odevixibat usnadňuje odstraňování žlučových kyselin prostřednictvím střev a snižuje jejich množství v krvi, čímž zmírňuje příznaky cholestatického pruritu.

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



Jaké přínosy přípravku Kayfanda byly prokázány v průběhu studií?

V hlavní studii, do které bylo zařazeno 52 dětí s Alagillovým syndromem, bylo prokázáno, že přípravek Kayfanda zmírňuje cholestatický pruritus. V této studii byli pacienti léčeni buď přípravkem Kayfanda, nebo placebem (neúčinným přípravkem). Na základě vyhodnocení dotazníku pro pečovatele Albireo ObsRO (což je nástroj, který pečovateli pomáhá zaznamenávat závažnost svědění na stupnici od 0 do 4, přičemž čím vyšší skóre, tím závažnější svědění) došlo po 24 týdnech léčby ke snížení skóre ranního a večerního škrábání v průměru přibližně o 1,7 bodu u dětí, kterým byl podáván přípravek Kayfanda, zatímco u dětí, kterým bylo podáváno placebo, v průměru přibližně o 0,8 bodu.

Léčba přípravkem Kayfanda rovněž vedla ke zlepšení poruch spánku způsobených cholestatickým pruritem. Po 21 až 24 týdnech léčby byl u dětí, kterým byl podáván přípravek Kayfanda, zaznamenán pokles počtu dnů, kdy potřebovaly pomoc při usínání, přibližně o 43 % a pokles počtu dnů, kdy bylo potřeba je při usínání uklidnit, přibližně o 47 %. U dětí, kterým bylo podáváno placebo, byl u stejných parametrů zaznamenán pokles o přibližně 10 % a 6 %. Po 20 a 24 týdnech léčby došlo u dětí, kterým byl podáván přípravek Kayfanda, ke snížení hladin žlučových kyselin v krvi přibližně o 88 µmol/l ve srovnání se zvýšením o přibližně 25 µmol/l u dětí, kterým bylo podáváno placebo.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Kayfanda?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Kayfanda je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějším nežádoucím účinkem přípravku Kayfanda (který může postihnout více než 1 osobu z 10) je průjem.

Na základě čeho byl přípravek Kayfanda registrován v EU?

Alagillov syndrom je vzácné a život ohrožující onemocnění. 45 % až 88 % osob s tímto syndromem postihuje závažné a přetrvávající svědění. V době schválení přípravku Kayfanda byly k dispozici omezené možnosti léčby cholestatického pruritu v souvislosti s Alagillovým syndromem.

Ačkoli hlavní studie vykazovala určitá omezení, včetně malého počtu pacientů a krátké doby sledování pacientů ve studii, léčba přípravkem Kayfanda vedla k významnému zmírnění příznaků Alagillova syndromu, jako je svědění a související poruchy spánku. Přípravek Kayfanda byl rovněž účinný při snižování hladin žlučových kyselin v krvi, což je hlavní příčina cholestatického pruritu.

Přestože údaje o bezpečnosti přípravku Kayfanda jsou omezené a je třeba shromáždit další informace, hlavní nežádoucí účinky, jako jsou účinky postihující žaludek a střeva, se považují za zvladatelné. Na základě toho, jak léčivý přípravek působí, je profil účinnosti a bezpečnosti u dospělých považován za stejný jako u dětí.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Kayfanda převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravek Kayfanda byl registrován „za výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění nebylo možné o přípravku Kayfanda získat úplné informace. Společnost musí předložit výsledky studie dlouhodobé bezpečnosti přípravku Kayfanda v rámci léčby cholestatického pruritu u pacientů ve věku 6 měsíců a starších s Alagillovým syndromem. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace týkající se bezpečnosti a účinnosti přípravku Kayfanda.

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

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Kayfanda, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Kayfanda průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Kayfanda jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Kayfanda

Další informace o přípravku Kayfanda jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.