



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR - sammendrag for offentligheden

Kanuma

sebelipase alfa

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Kanuma. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Kanuma bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Kanuma, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Kanuma, og hvad anvendes det til?

Kanuma er et lægemiddel til behandling af patienter i alle aldre med lysosomal sur lipase-mangel. Denne arvelige sygdom skyldes mangel på enzymet lysosomal sur lipase, der er nødvendigt til at nedbryde fedtstofferne i cellerne. Når dette enzym mangler eller kun findes i lav koncentration, ophober der sig fedtstoffer i kroppens celler. Dette medfører symptomer som væksthæmning og leverskader.

Da antallet af patienter med lysosomal sur lipase-mangel er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Kanuma blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 17. december 2010.

Kanuma indeholder det aktive stof sebelipase alfa.

Hvordan anvendes Kanuma?

Behandlingen med Kanuma bør overvåges af en læge med erfaring i behandling af lysosomal sur lipase-mangel, andre stofskiftesygdomme eller leversygdomme. Behandlingen bør gives af en erfaren sundhedsperson, der kan tage sig af akutte sygdomstilstande (såsom svær allergi). Lægemidlet udleveres kun efter recept.



Kanuma fås som et koncentrat, der efter opløsning indgives med drop i en vene (koncentrat til infusionsvæske, opløsning). Den anbefalede dosis er 1 mg/kg legemsvægt, der gives én gang hver anden uge. Infusionen skal vare ca. 1 til 2 timer.

Hos patienter med hurtigt fremadskridende sygdom inden 6-måneders alderen gives en dosis på 1 mg/kg én gang ugentligt i stedet for én gang hver anden uge; hos sådanne patienter kan dosis sættes op til 3 mg/kg én gang ugentligt afhængigt af behandlingens virkning.

Behandlingen med Kanuma bør påbegyndes snarest muligt efter diagnosen, og lægemidlet er beregnet til langtidsbehandling.

Hvordan virker Kanuma?

Det aktive stof i Kanuma, sebelipase alfa, er en kopi af det enzym, der mangler hos patienter med lysosomal sur lipase-mangel. Sebelipase alfa erstatter det manglende enzym, medvirker til at nedbryde fedtstoffer og standser ophobningen af dem i kroppens celler.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Kanuma?

Kanuma er blevet undersøgt i to hovedundersøgelser hos patienter med lysosomal sur lipase-mangel. Den første undersøgelse omfattede ni spædbørn med væksthæmning eller andre tegn på hurtigt fremadskridende sygdom i de første seks måneders levetid. Undersøgelsen viste, at seks ud af ni spædbørn, der fik Kanuma, overlevede til 1-års-alderen. Der var desuden bedring i væksten hos alle de seks overlevende spædbørn.

Den anden undersøgelse omfattede 66 patienter (børn og voksne). Her blev Kanuma sammenlignet med placebo (en virkningsløs behandling). Virkningen blev hovedsagelig bedømt på andelen af patienterne, der opnåede normal koncentration af leverenzymet ALT efter fem måneders behandling. Høj koncentration af enzymet ALT er et tegn på leverskade. I denne undersøgelse opnåede 31 % af de patienter, der fik Kanuma (11 ud af 36) normale koncentrationer af enzymet ALT, sammenholdt med 7 % af dem, der fik placebo (2 ud af 30).

Hvilke risici er der forbundet med Kanuma?

De alvorligste bivirkninger med Kanuma (der optræder hos ca. 3 ud af 100 patienter) er tegn og symptomer på svære allergiske reaktioner. Disse består i ubehag i brystet, røde øjne, hævede øjenlåg, vejtrækningsbesvær, kløende udslæt, nældefeber, rødme, løbende næse, hjertebanken og hurtig vejtrækning. Der er indberettet om dannelse af antistoffer mod lægemidlet, navnlig hos spædbørn. Hvis der dannes antistoffer, vil Kanuma muligvis ikke virke effektivt. Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger ved Kanuma fremgår af indlægssedlen.

Kanuma må ikke anvendes hos patienter, der har haft en livstruende allergisk reaktion over for det aktive stof, og hos hvem reaktionen vendte tilbage, når behandlingen blev genoptaget efter at have været standset. Det må heller ikke anvendes hos patienter med livstruende allergi over for æg eller over for nogen af indholdsstofferne i Kanuma.

Hvorfor blev Kanuma godkendt?

Agenturets Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) konkluderede, at fordelene ved Kanuma opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU. Udvalget bemærkede, at der savnes en effektiv behandling af lysosomal sur lipase-mangel, og at dødeligheden er høj hos spædbørn med hurtigt fremadskridende sygdom. CHMP fandt, at Kanuma væsentligt forbedrede overlevelsen hos spædbørn og gav effektiv bedring i symptomerne på sygdommen hos patienter i alle aldre.

Sikkerhedsmæssigt er der ikke fundet større problemer, og alvorlige bivirkninger var sjældne eller håndterbare. Der behøves dog mere viden om lægemidlets fordele og sikkerhed på lang sigt.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Kanuma?

Der er udarbejdet en risikostyringsplan for at sikre, at Kanuma anvendes så sikkert som muligt. På baggrund af denne er der anført sikkerhedsoplysninger i produktresuméet og indlægssedlen for Kanuma, herunder passende forholdsregler, som patienter og sundhedspersonale skal følge.

Desuden er den virksomhed, der markedsfører Kanuma, i færd med at udføre en undersøgelse hos spædbørn med hurtigt fremadskridende sygdom, og virksomheden vil oprette et register over patienter i alle aldre for at skaffe yderligere oplysninger om Kanumas fordele og sikkerhed på lang sigt, navnlig hvad angår risikoen for allergiske reaktioner og dannelse af antistoffer mod lægemidlet. Virksomheden vil endvidere udlevere oplysningsmateriale til alle læger, der forventes at udskrive Kanuma. Heri vil de blive opfordret til at optage patienter i registret, og de vil få information om, hvordan de skal overvåge patienterne for antistoffer og behandle patienter, som får alvorlige allergiske reaktioner

Yderligere oplysninger fremgår af [resuméet af risikostyringsplanen](#).

Andre oplysninger om Kanuma

Den fuldstændige EPAR og resuméet af risikostyringsplanen for Kanuma findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Kanuma, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Kanuma findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.