



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (*odevixibat*)

En oversigt over Kayfanda, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Kayfanda, og hvad anvendes det til?

Kayfanda er et lægemiddel til behandling af kolestatisk pruritus (kraftig kløe som følge af ophobning af galde), der forårsages af Alagilles syndrom hos patienter i alderen 6 måneder og derover.

Alagilles syndrom er en arvelig sygdom, hvor galde (en væske, der produceres i leveren, og som er med til at nedbryde fedtstoffer) ikke kan løbe rigtigt ud af leveren, hvilket medfører ophobning af galdesyre i leveren og blodet. Et af symptomerne på denne ophobning er kolestatisk pruritus.

Kayfanda indeholder det aktive stof odevixibat.

Hvordan anvendes Kayfanda?

Kayfanda fås kun på recept, og behandlingen skal indledes og overvåges af en læge med erfaring i behandling af Alagilles syndrom.

Kayfanda leveres som kapsler, der tages gennem munden én gang dagligt. Alternativt kan man åbne kapslen og drysse indholdet på mad eller i væske. Dosen afhænger af patientens vægt.

Hvis behandlingen medfører svær diarré af mere end tre dages varighed, eller hvis det er nødvendigt at give væske intravenøst for at håndtere dehydrering på grund af diarréen, kan Kayfanda-dosen sættes ned. Hvis det hjælper, kan dosen sættes op igen.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Kayfanda, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Kayfanda?

Det aktive stof i Kayfanda, odevixibat, blokerer virkningen af proteinet ileal galdesyretransportør (IBAT), der hjælper med at transportere galdesyre fra tarmen tilbage til blodet og leveren. Ved at blokere IBAT kan odevixibat bedre fjerne galdesyre gennem tarmen og sænke mængden af galdesyre i blodet, hvilket mindsker symptomerne på kolestatisk pruritus.

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



Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Kayfanda?

I et hovedstudie med 52 børn med Alagilles syndrom er det påvist, at Kayfanda reducerer kolestatisk pruritis. I studiet blev patienterne behandlet med enten Kayfanda eller placebo (et uvirksomt stof). Efter 24 ugers behandling var kløen om morgenen og aftenen hos de børn, der fik Kayfanda, i gennemsnit faldet med ca. 1,7 målt ved hjælp af Albireo ObsRO-spørgeskemaet (et værktøj, der hjælper omsorgspersoner med at registrere kløens sværhedsgrad ved hjælp af en skala fra 0 til 4, hvor høje resultater indikerer mere alvorlig kløe), mens den hos de børn, der fik placebo, i gennemsnit var faldet med ca. 0,8.

Behandlingen med Kayfanda medførte også en bedring i søvnforstyrrelserne på grund af kolestatisk pruritis. Efter 21-24 ugers behandling oplevede de børn, der fik Kayfanda, et fald på ca. 43 % i antallet af dage, hvor de havde brug for hjælp til at falde i søvn, og en reduktion på ca. 47 % i antallet af dage, hvor de havde brug for lindring for at falde i søvn, mod henholdsvis ca. 10 % og 6 % hos de børn, der fik placebo. Efter 20 og 24 ugers behandling oplevede de børn, der fik Kayfanda, et fald i indholdet af galdesyre i blodet på ca. 88 mikromol/l sammenlignet med en stigning på ca. 25 mikromol/l hos de børn, der fik placebo.

Hvilke risici er der forbundet med Kayfanda?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Kayfanda fremgår af indlægssedlen.

Den mest almindelige bivirkning ved Kayfanda (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er diarré.

Hvorfor er Kayfanda godkendt i EU?

Alagilles syndrom er en sjælden og livstruende tilstand. Mellem 45 % og 88 % af personer med dette syndrom har alvorlig og vedvarende kløe. På tidspunktet for godkendelsen af Kayfanda var der begrænsede behandlingsmuligheder for kolestatisk pruritus forbundet med Alagilles syndrom.

Selv om der var visse begrænsninger i hovedstudiet, herunder det lave antal patienter og den korte opfølgingsperiode for patienterne i studiet, forbedrede behandlingen med Kayfanda væsentligt symptomerne på Alagilles syndrom, såsom kløe og hermed forbundne søvnforstyrrelser. Kayfanda var også effektivt til at reducere indholdet af galdesyre i blodet, som er hovedårsagen til kolestatisk pruritis.

Selvom der kun foreligger begrænsede data om sikkerheden ved Kayfanda, og der skal indsamles yderligere oplysninger, anses de væsentligste bivirkninger, f.eks. dem, der påvirker mave-tarmkanalen, for at være håndterbare. Ud fra hvordan lægemidlet virker, anses virkningen og sikkerhedsprofilen hos voksne for at være den samme som hos børn.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Kayfanda opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Kayfanda er blevet godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det grundet sygdommens sjældenhed ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Kayfanda. Virksomheden skal indsende resultaterne af et studie af Kayfandas sikkerhed på lang sigt ved behandling af kolestatisk pruritis hos patienter i alderen 6 måneder og derover med Alagilles syndrom. Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger om sikkerheden og virkningen af Kayfanda.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Kayfanda anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Kayfanda anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Kayfanda løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Kayfanda vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Kayfanda

Yderligere information om Kayfanda findes på agenturets websted:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.