



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Kanuma

Sebelipase alfa

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Kanuma. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Kanuma zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Kanuma benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Was ist Kanuma und wofür wird es angewendet?

Kanuma ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Patienten aller Altersgruppen mit einem Mangel an lysosomaler saurer Lipase (LAL-Mangel). Dies ist eine Erbkrankheit, die durch einen Mangel des Enzyms lysosomale saure Lipase, welche für den Abbau von Fett in den Zellen benötigt wird, verursacht wird. Wenn das Enzym fehlt oder nur in niedrigen Konzentrationen vorhanden ist, kommt es zu einer Fettsäureanreicherung in den Zellen des Körpers, die Symptome wie Wachstumsstörungen und Leberschäden hervorruft.

Da es nur wenige Patienten mit LAL-Mangel gibt, gilt die Krankheit als selten, und Kanuma wurde am 17. Dezember 2010 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Kanuma enthält den Wirkstoff Sebelipase Alfa.

Wie wird Kanuma angewendet?

Die Behandlung mit Kanuma sollte unter der Aufsicht eines Arztes erfolgen, der in der Behandlung von LAL-Mangel, anderen Stoffwechselkrankheiten oder Lebererkrankungen erfahren ist. Die Behandlung sollte durch geschultes medizinisches Fachpersonal erfolgen, das in der Lage ist, medizinische Notfälle (wie z. B. schwere allergische Reaktionen) zu behandeln. Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.



Kanuma ist als Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung (Tropfinfusion in eine Vene) erhältlich. Die empfohlene Dosis beträgt 1 mg pro Kilogramm Körpergewicht einmal alle zwei Wochen. Die Infusion sollte über etwa 1 bis 2 Stunden gegeben werden.

Bei Patienten mit schnell voranschreitender Erkrankung vor einem Alter von 6 Monaten wird eine Dosis von 1 mg/kg jede Woche anstatt alle zwei Wochen gegeben; bei diesen Patienten kann die Dosis abhängig vom Ansprechen auf die Behandlung auf 3 mg/kg einmal wöchentlich erhöht werden.

Die Behandlung mit Kanuma sollte so früh wie möglich nach der Diagnose eingeleitet werden und ist für eine Langzeitanwendung vorgesehen.

Wie wirkt Kanuma?

Der Wirkstoff in Kanuma, Sebelipase alfa, ist eine Kopie des Enzyms, das bei Patienten mit LAL-Mangel fehlt. Sebelipase alfa ersetzt das fehlende Enzym und hilft somit, Fette abzubauen und zu verhindern, dass sie sich in den Zellen des Körpers anreichern.

Welchen Nutzen hat Kanuma in den Studien gezeigt?

Kanuma wurde in zwei Hauptstudien an Patienten mit LAL-Mangel untersucht. Die erste Studie umfasste 9 Kleinkinder mit Wachstumsstörungen oder anderen Anzeichen auf eine schnell voranschreitende Erkrankung in den ersten 6 Lebensmonaten. Die Studie zeigte, dass 6 der 9 mit Kanuma behandelten Kleinkinder bis zum 1. Lebensjahr überlebten. Außerdem konnten bei allen 6 überlebenden Kleinkindern Wachstumsverbesserungen beobachtet werden.

In der zweiten Studie wurde Kanuma bei 66 Patienten (Kinder und Erwachsene) mit Placebo (Scheinbehandlung) verglichen. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war der Anteil der Patienten, bei denen nach 5-monatiger Behandlung normale Konzentrationen eines Leberenzym mit dem Namen ALT (Alanin-Aminotransferase) erreicht wurden. Hohe ALT-Konzentrationen sind ein Anzeichen für eine Schädigung der Leber. In dieser Studie erreichten 31 % der Patienten, die Kanuma erhielten (11 von 36), normale Konzentrationen des Enzyms ALT, verglichen mit 7 % der Patienten, die Placebo erhielten (2 von 30).

Welche Risiken sind mit Kanuma verbunden?

Die schwerwiegendsten Nebenwirkungen von Kanuma (die bei etwa 3 von 100 Patienten auftreten) sind Anzeichen und Symptome schwerer allergischer Reaktionen. Dazu gehören Brustkorbbeschwerden, Augenrötung, Schwellung der Augenlider, Atembeschwerden, juckender Ausschlag, Nesselsucht, Hitzewallungen, laufende Nase, Herzrasen und schnelle Atmung. Insbesondere bei Kindern wurde außerdem die Entwicklung von Antikörpern gegen das Arzneimittel berichtet. Falls sich Antikörper entwickeln, ist die Wirksamkeit von Kanuma nicht gewährleistet. Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Kanuma berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Kanuma darf nicht bei Patienten angewendet werden, bei denen zuvor eine lebensbedrohliche allergische Reaktion gegen den Wirkstoff aufgetreten ist, die nach Absetzen und erneuter Anwendung der Therapie erneut aufgetreten ist. Es darf außerdem nicht bei Patienten mit lebensbedrohlichen Allergien gegen Eier oder einen oder mehrere der in Kanuma enthaltenen Bestandteile angewendet werden.

Warum wurde Kanuma zugelassen?

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Kanuma gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen. Der Ausschuss nahm den Mangel an wirksamen Behandlungen gegen Lysosomale-Saure-Lipase-Mangel und die hohe Sterblichkeitsrate bei Kleinkindern mit schnell voranschreitender Erkrankung zur Kenntnis. Der CHMP gelangte zu dem Schluss, dass Kanuma zu erheblichen Verbesserungen des Überlebens bei Kleinkindern führt und eine Besserung der Symptome der Erkrankung bei Patienten aller Altersgruppen bewirkt. In Bezug auf die Sicherheit wurden keine wesentlichen Bedenken festgestellt und schwerwiegende Nebenwirkungen traten selten auf oder waren handhabbar. Es sind jedoch weitere Daten hinsichtlich des langfristigen Nutzens und der Langzeitsicherheit des Arzneimittels notwendig.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Kanuma ergriffen?

Es wurde ein Risikomanagementplan entwickelt, um sicherzustellen, dass Kanuma so sicher wie möglich angewendet wird. Auf der Grundlage dieses Plans wurden Sicherheitsinformationen in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage für Kanuma aufgenommen, einschließlich geeigneter Vorsichtsmaßnahmen für Angehörige der Heilberufe und Patienten.

Darüber hinaus führt das Unternehmen, das Kanuma in den Verkehr bringt, derzeit eine Studie an Kleinkindern mit schnell voranschreitender Erkrankung durch und wird ein Register von Patienten aller Altersgruppen anlegen, um weitere Daten hinsichtlich des langfristigen Nutzens und der Langzeitsicherheit von Kanuma zu sammeln, insbesondere hinsichtlich des Risikos allergischer Reaktionen und der Entwicklung von Antikörpern gegen das Arzneimittel. Außerdem wird das Unternehmen allen Ärzten, die Kanuma voraussichtlich verschreiben werden, Schulungsmaterialien zur Verfügung stellen, worin die Ärzte angehalten werden, Patienten in das Register aufzunehmen; diese Schulungsmaterialien enthalten darüber hinaus Informationen für Ärzte zur Überwachung von Patienten auf Antikörper sowie zur Behandlung von Patienten, bei denen schwere allergische Reaktionen auftreten.

Nähere Informationen sind in der [Zusammenfassung des Risikomanagementplans](#) enthalten.

Weitere Informationen über Kanuma

Den vollständigen Wortlaut des EPAR und die Zusammenfassung des Risikomanagementplans für Kanuma finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Kanuma benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Kanuma finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).