



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (*Odevixibat*)

Übersicht über Kayfanda und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Kayfanda und wofür wird es angewendet?

Kayfanda ist ein Arzneimittel zur Behandlung des cholestatischen Pruritus (intensiver Juckreiz aufgrund einer Ansammlung von Galle), der durch das Alagille-Syndrom bei Patienten ab einem Alter von 6 Monaten verursacht wird.

Das Alagille-Syndrom ist eine Erbkrankheit, bei der Gallenflüssigkeit (eine in der Leber hergestellte Flüssigkeit, die zum Abbau von Fetten beiträgt) nicht richtig aus der Leber abfließen kann, was zu einer Anreicherung von Gallensäure in der Leber und im Blut führt. Eines der Symptome dieser Anreicherung ist cholestatische Pruritus.

Kayfanda enthält den Wirkstoff Odevixibat.

Wie wird Kayfanda angewendet?

Kayfanda ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung muss von einem in der Behandlung des Alagille-Syndroms erfahrenen Arzt eingeleitet und überwacht werden.

Kayfanda ist als Kapseln zum Einnehmen erhältlich, oder alternativ kann die Kapsel geöffnet und ihr Inhalt einmal täglich auf Nahrung oder in Flüssigkeit gestreut werden. Die Dosis richtet sich nach dem Körpergewicht des Patienten.

Wenn die Behandlung zu schwerem Durchfall führt, der länger als drei Tage anhält, oder wenn intravenöse Flüssigkeiten zur Behandlung der durch den Durchfall verursachten Dehydratation erforderlich sind, kann die Dosis Kayfanda reduziert werden. Wenn dies abklingt, kann die Dosis erhöht werden.

Weitere Informationen zur Anwendung von Kayfanda entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Kayfanda?

Der Wirkstoff in Kayfanda, Odevixibat, hemmt die Wirkung eines Proteins, des sogenannten ilealen Gallensäuretransporters (IBAT), das hilft, Gallensäure vom Darm zurück in das Blut und die Leber zu

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



transportieren. Durch die Hemmung des IBAT erleichtert Odevixibat die Entfernung von Gallensäure durch den Darm und senkt die Menge an Gallensäure im Blut, wodurch die Symptome des cholestatischen Pruritus gelindert werden.

Welchen Nutzen hat Kayfanda in den Studien gezeigt?

In einer Hauptstudie, an der 52 Kinder mit Alagille-Syndrom teilnahmen, wurde gezeigt, dass Kayfanda den cholestatischen Pruritus reduziert. In dieser Studie wurden die Patienten entweder mit Kayfanda oder mit Placebo (einer Scheinbehandlung) behandelt. Nach einer 24-wöchigen Behandlung hatten die mit Kayfanda behandelten Kinder im Durchschnitt eine Verringerung des morgendlichen und abendlichen Kratzens um etwa 1,7, gemessen anhand des Albireo ObsRO-Fragebogens für Betreuungspersonen (ein Instrument, das den Betreuungspersonen hilft, die Schwere des Juckreizes auf einer Skala von 0 bis 4 zu erfassen, wobei höhere Werte einen stärkeren Juckreiz anzeigen), während die mit Placebo behandelten Kinder im Durchschnitt eine Verringerung um etwa 0,8 hatten.

Die Behandlung mit Kayfanda führte auch zu einer Verbesserung der durch cholestatischen Pruritus verursachten Schlafstörungen. Nach einer 21- bis 24-wöchigen Behandlung hatten Kinder, die Kayfanda erhielten, eine Verringerung der Tage, an denen sie Hilfe beim Einschlafen benötigten, um etwa 43 % und eine Verringerung der Tage, an denen sie lindernde Mittel benötigten, um einschlafen zu können, um etwa 47 %, verglichen mit einer Verringerung von etwa 10 % bzw. 6 % bei Kindern, die mit Placebo behandelt wurden. Nach 20- und 24-wöchiger Behandlung wiesen Kinder, die Kayfanda erhielten, eine Senkung ihrer Gallensäurespiegel im Blut von etwa 88 µmol/l auf, verglichen mit einem Anstieg von etwa 25 µmol/l bei Kindern, die Placebo erhielten.

Welche Risiken sind mit Kayfanda verbunden?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Kayfanda ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Eine sehr häufige Nebenwirkung von Kayfanda (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen kann) ist Durchfall.

Warum wurde Kayfanda in der EU zugelassen?

Das Alagille-Syndrom ist eine seltene und lebensbedrohliche Erkrankung. Schwerer und anhaltender Juckreiz betrifft zwischen 45 % und 88 % der Personen mit diesem Syndrom. Zum Zeitpunkt der Zulassung von Kayfanda waren die Behandlungsoptionen für cholestatischen Pruritus im Zusammenhang mit dem Alagille-Syndrom begrenzt.

Obwohl die Hauptstudie einige Einschränkungen aufwies, darunter die geringe Anzahl an Patienten und die kurze Dauer der Nachbeobachtung der Patienten in der Studie, führte die Behandlung mit Kayfanda zu einer deutlichen Verbesserung der Symptome des Alagille-Syndroms, wie z. B. Juckreiz und damit verbundene Schlafstörungen. Kayfanda war auch bei der Senkung der Gallensäurespiegel im Blut, der Hauptursache für cholestatische Pruritus, wirksam.

Obwohl die Daten zur Sicherheit von Kayfanda begrenzt sind und weitere Informationen erhoben werden müssen, werden die wichtigsten Nebenwirkungen, wie z. B. diejenigen, die den Magen und den Darm betreffen, als beherrschbar erachtet. Je nachdem, wie das Arzneimittel wirkt, wird das Wirksamkeits- und Sicherheitsprofil bei Erwachsenen als mit dem bei Kindern identisch angesehen.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Kayfanda gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Kayfanda wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über Kayfanda zu erlangen. Das Unternehmen muss die Ergebnisse einer Studie zur Langzeitsicherheit von Kayfanda zur Behandlung von cholestatischem Pruritus bei Patienten ab einem Alter von 6 Monaten mit Alagille-Syndrom vorlegen. Die Europäische Arzneimittel-Agentur wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen zur Sicherheit und Wirksamkeit von Kayfanda überprüfen.

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

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Kayfanda, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Kayfanda kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Kayfanda werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Kayfanda

Weitere Informationen zu Kayfanda finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.