



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Kanuma sebelipase alfa

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Kanuma. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Kanuma.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Kanuma, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευούνται το φύλλο οδηγιών χρήσης που συνοδεύει το φάρμακο ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Kanuma και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Kanuma είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών όλων των ηλικιών με ανεπάρκεια λυσοσωμικής όξινης λιπάσης. Πρόκειται για κληρονομική νόσο η οποία προκαλείται λόγω έλλειψης ενός ενζύμου που ονομάζεται λυσοσωμική όξινη λιπάση και είναι απαραίτητο για τη διάσπαση των λιπών στα κύτταρα. Σε περίπτωση απουσίας ή ανεπάρκειας του ενζύμου αυτού, τα λίπη συσσωρεύονται στα κύτταρα του οργανισμού προκαλώντας συμπτώματα όπως διαταραχές της ανάπτυξης και ηπατικές βλάβες.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με ανεπάρκεια λυσοσωμικής όξινης λιπάσης και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Kanuma χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 17 Δεκεμβρίου 2010.

Περιέχει τη δραστική ουσία sebelipase alfa.

Πώς χρησιμοποιείται το Kanuma;

Η θεραπεία με Kanuma πρέπει να επιτηρείται από γιατρό με εμπειρία στη θεραπεία της ανεπάρκειας λυσοσωμικής όξινης λιπάσης και άλλων μεταβολικών διαταραχών ή ηπατικών νόσων. Η θεραπεία πρέπει να χορηγείται από εκπαιδευμένο επαγγελματία του τομέα της υγείας ο οποίος μπορεί να χειριστεί



επείγοντα ιατρικά περιστατικά (όπως σοβαρή αλλεργία). Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.

Το Kanuma διατίθεται ως πυκνό διάλυμα για την παρασκευή διαλύματος προς έγχυση (στάγδην χορήγηση) εντός της φλέβας. Η συνιστώμενη δόση είναι 1 mg ανά κιλό σωματικού βάρους χορηγούμενη μία φορά κάθε δύο εβδομάδες. Η διάρκεια της έγχυσης πρέπει να είναι 1 έως 2 ώρες.

Σε ασθενείς που εμφανίζουν ταχέως εξελισσόμενη νόσο πριν από την ηλικία των 6 μηνών, χορηγείται δόση 1 mg/kg μία φορά την εβδομάδα αντί για μία φορά κάθε δύο εβδομάδες. Σε αυτούς τους ασθενείς η δόση μπορεί να αυξηθεί σε 3 mg/kg μία φορά την εβδομάδα, ανάλογα με την απόκρισή τους στη θεραπεία.

Η θεραπεία με Kanuma πρέπει να ξεκινά το συντομότερο δυνατόν μετά τη διάγνωση και προορίζεται για μακροχρόνια χρήση.

Πώς δρα το Kanuma;

Η δραστική ουσία του Kanuma, η sebelipase alfa, είναι αντίγραφο του ενζύμου το οποίο λείπει από τους ασθενείς που πάσχουν από ανεπάρκεια λυσοσωμικής όξινης λιπάσης. Η sebelipase alfa αντικαθιστά το ένζυμο που λείπει, συμβάλλοντας στη διάσπαση των λιπών και στην ανάσχεση της συσσώρευσής τους στα κύτταρα του οργανισμού.

Ποια είναι τα οφέλη του Kanuma σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Kanuma έχει μελετηθεί σε 2 βασικές μελέτες στις οποίες μετείχαν ασθενείς με ανεπάρκεια λυσοσωμικής όξινης λιπάσης. Στην πρώτη μελέτη μετείχαν 9 βρέφη με διαταραχές της ανάπτυξης ή άλλες ενδείξεις ταχέως εξελισσόμενης νόσου κατά τους πρώτους 6 μήνες της ζωής τους. Σύμφωνα με τη μελέτη, 6 στα 9 βρέφη που έλαβαν Kanuma επέζησαν μέχρι την ηλικία του 1 έτους. Παρατηρήθηκαν βελτιώσεις στην ανάπτυξη και των 6 βρεφών που επιβίωσαν.

Στη δεύτερη μελέτη συμμετείχαν 66 ασθενείς (παιδιά και ενήλικες) και το Kanuma συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν το ποσοστό των ασθενών οι οποίοι εμφάνισαν φυσιολογικά επίπεδα του ηπατικού ενζύμου ALT (αλανινική αμινοτρανσφεράση) 5 μήνες μετά τη θεραπεία. Τα υψηλά επίπεδα ALT αποτελούν ένδειξη ηπατικής βλάβης. Στη συγκεκριμένη μελέτη, φυσιολογικά επίπεδα του ενζύμου ALT εμφάνισε το 31% των ασθενών που έλαβαν Kanuma (11 από τους 36) έναντι 7% των ασθενών που έλαβαν εικονικό φάρμακο (2 από τους 30).

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Kanuma;

Οι σοβαρότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Kanuma (εμφανίζονται σε περίπου 3 ασθενείς στους 100) είναι ενδείξεις και συμπτώματα σοβαρής αλλεργικής αντίδρασης, μεταξύ των οποίων δυσφορία στο στήθος, ερυθρότητα στα μάτια, οίδημα στα βλέφαρα, δυσκολία στην αναπνοή, εξάνθημα με κνησμό, κνίδωση, ερύθημα, καταρροή, ταχυκαρδία και γρήγορος ρυθμός αναπνοής. Έχει επίσης αναφερθεί η ανάπτυξη αντισωμάτων κατά του φαρμάκου, ιδίως σε βρέφη. Αν αναπτυχθούν αντισώματα, η δράση του Kanuma ενδέχεται να μην είναι αποτελεσματική. Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Kanuma περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Kanuma δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς εμφάνισαν εκ νέου απειλητική για τη ζωή αλλεργική αντίδραση στη δραστική ουσία μετά από διακοπή και επανέναρξη της θεραπείας. Το Kanuma δεν πρέπει επίσης να χορηγείται σε ασθενείς που εμφάνισαν απειλητική για τη ζωή αλλεργία στα αβγά ή σε κάποιο από τα συστατικά του Kanuma.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Kanuma;

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Οργανισμού έκρινε ότι τα οφέλη του Kanuma υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ. Η επιτροπή έλαβε υπόψη την έλλειψη άλλων αποτελεσματικών θεραπειών για την ανεπάρκεια της λυσοσωμικής όξινης λιπάσης, καθώς και τα υψηλά ποσοστά θνησιμότητας σε βρέφη με ταχέως εξελισσόμενη νόσο. Η CHMP έκρινε ότι το Kanuma βελτίωσε σημαντικά την επιβίωση στα βρέφη, όπως και τα συμπτώματα της νόσου σε ασθενείς όλων των ηλικιών. Όσον αφορά την ασφάλεια, δεν εντοπίστηκαν σημαντικά ζητήματα, οι δε σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες ήταν σπάνιες ή αντιμετωπίσιμες. Παρόλα αυτά, απαιτούνται περαιτέρω δεδομένα σχετικά με τα μακροπρόθεσμα οφέλη και την ασφάλεια του φαρμάκου.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Kanuma;

Καταρτίστηκε σχέδιο διαχείρισης κινδύνου προκειμένου να διασφαλιστεί ότι το Kanuma χρησιμοποιείται με τον ασφαλέστερο δυνατό τρόπο. Βάσει του σχεδίου αυτού, στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του Kanuma συμπεριλήφθηκαν πληροφορίες σχετικά με την ασφάλεια καθώς και τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς.

Επιπλέον, η παρασκευάστρια εταιρεία του Kanuma διενεργεί επί του παρόντος μελέτη σε βρέφη με ταχέως εξελισσόμενη νόσο και πρόκειται να καταρτίσει μητρώο ασθενών όλων των ηλικιών προκειμένου να συγκεντρώσει περισσότερες πληροφορίες για τα μακροπρόθεσμα οφέλη και την ασφάλεια του Kanuma, και ιδίως για τον κίνδυνο αλλεργικών αντιδράσεων και την ανάπτυξη αντισωμάτων κατά του φαρμάκου. Η εταιρεία θα αποστείλει επίσης εκπαιδευτικό υλικό σε όλους τους γιατρούς που αναμένεται να συνταγογραφήσουν το Kanuma, με το οποίο θα τους ενθαρρύνει να καταγράφουν ασθενείς στο μητρώο και θα τους ενημερώνει σχετικά με τον τρόπο παρακολούθησης των αντισωμάτων των ασθενών και τη διαχείριση των ασθενών που εμφανίζουν σοβαρές αλλεργικές αντιδράσεις.

Περισσότερες πληροφορίες περιλαμβάνονται στην [περίληψη του σχεδίου διαχείρισης κινδύνου](#)

Λοιπές πληροφορίες για το Kanuma

Η πλήρης EPAR και η περίληψη του σχεδίου διαχείρισης κινδύνου του Kanuma διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Kanuma, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Kanuma διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare_disease/designation.