



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (οδεβιξιμπάτη)

Ανασκόπηση του Kayfanda και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Kayfanda και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Kayfanda είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία του χολοστατικού κνησμού (έντονος κνησμός λόγω συσσώρευσης χολής) που προκαλείται από το σύνδρομο Alagille σε ασθενείς ηλικίας 6 μηνών και άνω.

Το σύνδρομο Alagille είναι μια κληρονομική νόσος κατά την οποία η χολή (ένα υγρό που παράγεται στο ήπαρ και συμβάλλει στη διάσπαση των λιπών) δεν μπορεί να αποστραγγιστεί σωστά από το ήπαρ, με αποτέλεσμα τη συσσώρευση χολικών οξέων στο ήπαρ και στο αίμα. Ένα από τα συμπτώματα της συσσώρευσης χολικών οξέων είναι ο χολοστατικός κνησμός.

Το Kayfanda περιέχει τη δραστική ουσία οδεβιξιμπάτη.

Πώς χρησιμοποιείται το Kayfanda;

Το Kayfanda χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και η παρακολούθηση της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με εμπειρία στη θεραπεία του συνδρόμου Alagille.

Το Kayfanda διατίθεται υπό μορφή καψακίων για από του στόματος χρήση, μία φορά την ημέρα. Εναλλακτικά, το καψάκιο μπορεί να ανοιχτεί και το περιεχόμενό του να αναμιχθεί με τροφή ή υγρό. Η δόση εξαρτάται από το σωματικό βάρος του ασθενούς.

Εάν η θεραπεία προκαλέσει σοβαρή διάρροια, η οποία διαρκεί περισσότερο από τρεις ημέρες, ή απαιτείται ενδοφλέβια (IV) ενυδάτωση για την αντιμετώπιση της αφυδάτωσης που προκαλείται από τη διάρροια, η δόση του Kayfanda μπορεί να μειωθεί. Εφόσον υποχωρήσει αυτή η ανεπιθύμητη ενέργεια, η δόση μπορεί να αυξηθεί.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Kayfanda, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Kayfanda;

Η δραστική ουσία του Kayfanda, η οδεβιξιμπάτη, αναστέλλει τη δράση μιας πρωτεΐνης γνωστής ως μεταφορέας του ιλεατικού χολικού οξέος (IBAT), η οποία βοηθάει στη μεταφορά του χολικού οξέος από

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



το έντερο στο αίμα και το ήπαρ. Αναστέλλοντας τη δράση της IBAT, η οδεβιξιμπάτη απομακρύνει το χολικό οξύ μέσω του εντέρου. Κατ' αυτόν τον τρόπο μειώνεται η ποσότητα του χολικού οξέος στο αίμα, με αποτέλεσμα την ανακούφιση των συμπτωμάτων του χολοστατικού κνησμού.

Ποια είναι τα οφέλη του Kayfanda σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μια κύρια μελέτη, στην οποία συμμετείχαν 52 παιδιά με σύνδρομο Alagille, καταδείχθηκε ότι το Kayfanda μειώνει τον χολοστατικό κνησμό. Στη μελέτη αυτή, οι ασθενείς έλαβαν θεραπεία είτε με Kayfanda είτε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Μετά από 24 εβδομάδες θεραπείας, σύμφωνα με το ερωτηματολόγιο φροντιστή Albireo ObsRO (εργαλείο που βοηθά τους φροντιστές στην καταγραφή της έντασης του κνησμού, χρησιμοποιώντας μια κλίμακα από το 0 έως το 4, όπου η υψηλότερη βαθμολογία υποδεικνύει πιο έντονο κνησμό), ο κνησμός μειώθηκε το πρωί και το βράδυ κατά μέσο όρο κατά 1,7 περίπου στα παιδιά που έλαβαν Kayfanda, ενώ στα παιδιά που έλαβαν εικονικό φάρμακο ο κνησμός μειώθηκε κατά μέσο όρο κατά 0,8 περίπου.

Η θεραπεία με Kayfanda είχε επίσης ως αποτέλεσμα τη βελτίωση των διαταραχών του ύπνου που προκαλούνται από τον χολοστατικό κνησμό. Μετά από 21 έως 24 εβδομάδες θεραπείας, στα παιδιά που έλαβαν Kayfanda παρατηρήθηκε μείωση κατά περίπου 43% των ημερών που χρειάζονταν βοήθεια για να κοιμηθούν και μείωση κατά περίπου 47% των ημερών που χρειάζονταν καταπραϋντική θεραπεία για να κοιμηθούν, σε σύγκριση με μείωση κατά περίπου 10% και 6% αντίστοιχα για τα παιδιά που έλαβαν θεραπεία με εικονικό φάρμακο. Μετά από 20 και 24 εβδομάδες θεραπείας, τα χολικά οξέα στο αίμα των παιδιών που έλαβαν Kayfanda μειώθηκαν κατά 88 μmol/L περίπου, ενώ στο αίμα των παιδιών που έλαβαν εικονικό φάρμακο αυξήθηκαν κατά 25 μmol/L περίπου.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Kayfanda;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Kayfanda περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Η πιο συχνή ανεπιθύμητη ενέργεια με το Kayfanda (ενδέχεται να παρατηρηθεί σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι η διάρροια.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Kayfanda στην ΕΕ;

Το σύνδρομο Alagille είναι μια σπάνια και απειλητική για τη ζωή νόσος. Ο έντονος και επίμονος κνησμός επηρεάζει το 45% με 88% των ασθενών που πάσχουν από αυτό το σύνδρομο. Κατά την έγκριση του Kayfanda, υπήρχαν περιορισμένες θεραπευτικές επιλογές για τον χολοστατικό κνησμό που σχετίζεται με το σύνδρομο Alagille.

Αν και υπήρξαν ορισμένοι περιορισμοί όσον αφορά την κύρια μελέτη, συμπεριλαμβανομένου του μικρού αριθμού ασθενών και της σύντομης διάρκειας της παρακολούθησης των ασθενών στο πλαίσιο της μελέτης, η θεραπεία με Kayfanda είχε ως αποτέλεσμα τη σημαντική βελτίωση των συμπτωμάτων του συνδρόμου Alagille, όπως ο κνησμός και οι σχετικές διαταραχές ύπνου. Το Kayfanda ήταν επίσης αποτελεσματικό στη μείωση των επιπέδων χολικών οξέων στο αίμα, που είναι κύρια αιτία του χολοστατικού κνησμού.

Παρά το γεγονός ότι τα δεδομένα για την ασφάλεια του Kayfanda είναι περιορισμένα και απαιτείται η συγκέντρωση περαιτέρω πληροφοριών, οι κύριες ανεπιθύμητες ενέργειες, όπως αυτές που επηρεάζουν το στομάχι και το έντερο, θεωρούνται αντιμετωπίσιμες. Με βάση τον τρόπο δράσης του φαρμάκου, η εικόνα αποτελεσματικότητας και ασφάλειας του φαρμάκου σε ενήλικες θεωρείται ίδια με την εικόνα σε παιδιά.

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων αποφάσισε ότι τα οφέλη του Kayfanda υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το Kayfanda εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», διότι, λόγω της σπανιότητας της πάθησης, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Kayfanda. Η εταιρεία που εμπορεύεται το Kayfanda πρέπει να υποβάλει τα αποτελέσματα μιας μελέτης σχετικά με τη μακροχρόνια ασφάλειά του για τη θεραπεία του χολοστατικού κνησμού σε ασθενείς με σύνδρομο Alagille ηλικίας 6 μηνών και άνω. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο σχετικά με την ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα του Kayfanda.

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

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Kayfanda.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Kayfanda τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Kayfanda θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Kayfanda

Περισσότερες πληροφορίες για το Kayfanda διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.