



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/701713/2017  
EMA/H/C/000943

## Julkinen EPAR-yhteenveto

---

# Kuvan

## saproteriinidihydrokloridi

Tämä on tiivistelmä Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee lääkevalmistetta nimeltä Kuvan. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa ja suosituksiin sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Kuvanin käytöstä.

Potilas saa Kuvanin käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

### Mitä Kuvan on ja mihin sitä käytetään?

Kuvia käytetään veren korkean fenyylialaniinipitoisuuden hoitamiseen aikuisilla ja kaiken ikäisillä lapsilla, joilla on geneettinen fenyyliketonuria (PKU) tai tetrahydrobiopteriinivaje (BH4).

Potilaat, joilla on jokin näistä häiriöistä, eivät pysty muuntamaan ruoassa esiintyvää fenyylialaniinimistä aminohappoa. Heidän vereensä kerääntyy aminohappoa poikkeuksellisen suurina pitoisuuksina, mikä johtaa hermosto-ongelmiin.

Korkeisiin fenyylialaniinipitoisuuksiin johtavia sairauksia ja niitä sairastavia potilaita on vähän. Siksi sairaudet katsotaan harvinaisiksi, ja Kuvan nimettiin 8. kesäkuuta 2004 harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke).

Kuvanin vaikuttava aine on saproteriinidihydrokloridi.

### Miten Kuvia käytetään?

Kuvia on saatavilla liukenevina tabletteina (100mg) tai jauheena (100 tai 500 mg), joka liuotetaan veteen ja juodaan. Kuvan on reseptilääke. Hoidon saa aloittaa vain PKU- ja BH4-vajeeseen perehtynyt lääkäri, jonka on myös seurattava hoitoa. Kuvan-hoidon aikana on tärkeää, että potilas jatkaa sellaista ruokavaliota, joka sisältää vähän fenyylialaniinia ja proteiinia, ja fenyylialaniinin ja proteiinien saantia on seurattava ja mukautettava sen varmistamiseksi, että veren fenyylialaniinipitoisuus ja ravintotasapaino ovat hallinnassa. Kuvan on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön.



Kuvanin aloitusannos määräytyy potilaan painon mukaan. Annosta mukautetaan veren aminohappojen, mukaan lukien fenyylialaniini, perusteella. Kuvan otetaan aterian yhteydessä samaan aikaan joka päivä mieluiten aamulla. Joillakin BH4-vajetta sairastavilla potilailla annos saattaa olla tarpeen jakaa kahteen tai kolmeen samalle vuorokaudelle jakautuvaan annokseen parhaan vaikutuksen aikaansaamiseksi.

Tyydyttäväksi hoitovasteeksi katsotaan veren fenyylialaniinipitoisuuksien pienentyminen vähintään 30 prosenttia tai lääkärin määrittämälle tasolle. Mikäli tämä on saavutettu kuukauden kuluttua, potilas luokitellaan ns. hoitovastetta ilmentäväksi, ja hän voi jatkaa Kuvanin ottamista.

## **Miten Kuvan vaikuttaa?**

Korkeat fenyylialaniinipitoisuudet veressä johtuvat fenyylialaniini-hydroksylaasi-entsyymin kautta tapahtuvasta fenyylialaniinin hajoamisen ongelmasta. PKU-potilailla on tämän entsyymin puutteellisia muotoja, ja BH4-vajepotilailla on alhainen BH4-pitoisuus, lisätekijä, jota tämän entsyymin asianmukainen toiminta edellyttää.

Kuvanin vaikuttava aine sapropteriinidihydrokloridi on synteettinen kopio BH4:stä. PKU:ssa se toimii voimistamalla puutteellisen entsyymin toimintaa, kun taas BH4-vajeessa se korvaa puuttuvan lisätekijän. Tämä auttaa entsyymiä palauttamaan kyvyn muuntaa fenyylialaniinia tyrosiiniksi, mikä pienentää veren fenyylialaniinipitoisuutta.

## **Mitä hyötyä Kuvanista on havaittu tutkimuksissa?**

Veren fenyylialaniinipitoisuuden pienentymistä verrattiin yhdessä päätutkimuksessa 88:lla PKU-hoitoa saaneella potilaalla, joille annettiin joko Kuvania tai lumelääkettä. Kahdessa muussa 101 potilaan tutkimuksessa tarkasteltiin, miten tehokkaasti Kuvan piti potilaiden veren fenyylialaniinipitoisuudet tavoitetasolla (eli fenyylialaniinitoleranssin rajoissa), jos he söivät fenyylialaniinipitoista ruokaa.

Kuvan oli lumelääkettä tehokkaampi veren fenyylialaniinipitoisuuksien pienentämisessä PKU-potilailla, joilla pitoisuudet pienenevät 236 mikromoolia litraa kohden kuuden viikon jälkeen verrattuna lumelääkettä saaneisiin, joilla pitoisuudet suurenevat 3 mikromoolia litraa kohden. Lisäksi Kuvania ottavat PKU-potilaat, joille ei ollut ruokavaliorajoituksia, saattoivat 10 hoitoviikon jälkeen lisätä fenyylialaniinin saantia 17,5 mg painokiloa kohden verrattuna 3,3 mg:aan lumelääkettä ottavilla. Kun Kuvania ruokavaliorajoituksiin yhdistettynä verrattiin pelkkiin ruokavaliorajoituksiin, fenyylialaniinin keskimääräinen päivittäinen toleranssi oli 26 kuukauden jälkeen 81 mg/kg Kuvan-ryhmässä ja 50 mg pelkkää ruokavaliorajoituksia noudattavien ryhmässä.

Erittäin harvinaisen BH4-vajeen hoidon osalta yhtiö nojautui jo julkaistun kirjallisuuden tutkimustuloksiin potilaista, joista osaa oli hoidettu sapropteriinilla keskimäärin 15,5 kuukautta. Näissä tutkimuksissa potilailla ilmeni paranemista veren fenyylialaniinipitoisuuksissa ja muissa sairauden merkeissä, kun he ottivat kyseistä lääkettä.

Kuvania koskeviin tutkimuksiin osallistui kaiken ikäisiä aikuisia ja lapsia.

## **Mitä riskejä Kuvaniin liittyy?**

Kuvanin yleisimmät sivuvaikutukset (useammalla kuin yhdellä potilaalla 10:stä) ovat päänsärky ja rinorrea (nenän vuotaminen).

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Kuvanin ilmoitetusta sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

## Miksi Kuvan on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea katsoi Kuvanin hyödyn olevan sen riskejä suurempi ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

## Miten voidaan varmistaa Kuvanin turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Kuvanin käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältävät valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

## Muita tietoja Kuvanista

Euroopan komissio myönsi 2. joulukuuta 2008 Kuvanille koko Euroopan unionissa voimassa olevan myyntiluvan.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Kuvanista antamasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation)

Kuvia koskeva EPAR-arviointilausunto on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Lisätietoja Kuvan-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 07-2017.