



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/701693/2017
EMA/H/C/000943

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Kuvan

szapropterin-dihidroklorid

Ez a dokumentum a Kuvan-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Kuvan alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Kuvan alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer a Kuvan és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Kuvan-t a vérben mért magas fenilalaninszint kezelésére alkalmazzák a fenilketonuria (PKU) vagy a tetrahydro-biopterin- (BH4) hiány nevű genetikai rendellenességekben szenvedő felnőtteknél és különböző életkorú gyermekeknél.

Az e rendellenességekben szenvedő betegek szervezete az elfogyasztott fehérjékben található, fenilalanin nevű aminosavat nem képes feldolgozni, emiatt a vérben felhalmozódik az aminosav, ami idegrendszeri problémákhoz vezet.

Mivel a magas fenilalaninszinthez vezető betegségekben szenvedő betegek száma alacsony, a betegségek „ritkának” minősülnek, ezért a Kuvan-t 2004. június 8-án „ritka betegségek elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

A Kuvan hatóanyaga a szapropterin-dihidroklorid.

Hogyan kell alkalmazni a Kuvan-t?

A Kuvan oldódó tablettá (100 mg) vagy por (100 vagy 500 mg) formájában kapható, és vízben feloldva kell meginni. A Kuvan csak receptre kapható, és a kezelést olyan orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie, aki tapasztalt a PKU és a BH4-hiány kezelésében. Fontos, hogy a betegek étrendjében a

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



fenilalanin és a fehérje mennyisége alacsony legyen a Kuvan alkalmazásakor, a fenilalanin- és fehérje-felvételt ellenőrizni kell és be kell állítani annak biztosítása érdekében, hogy a vér fenilalaninszintje és a táplálkozási egyensúly szabályozott legyen. A Kuvan-t hosszú távú alkalmazásra szánták.

A Kuvan kezdőadagja a beteg testsúlyától függ. Az adagot később a vérben lévő aminosavak, így a fenilalanin szintjétől függően kell beállítani. A Kuvan-t étkezés közben, minden nap ugyanabban az időpontban, lehetőleg reggel kell bevenni. Egyes BH4-hiányban szenvedő betegeknél a legjobb hatás elérése érdekében szükség lehet a napi adag két vagy három részre történő felosztására.

A kielégítő gyógyszerválaszt a vér fenilalaninszintjének legalább 30%-os vagy az orvos által meghatározott szintet elérő csökkenése jelenti. Amennyiben ez egy hónap elteltével kialakul, azt úgy tekintik, hogy a beteg reagált, és folytathatja a Kuvan-kezelést.

Hogyan fejti ki hatását a Kuvan?

A vérben a fenilalanin magas szintjét a fenilalaninnak a „fenilalanin-hidroxiláz” enzim által végzett lebontása miatt jelentkező probléma okozza. A PKU-ban szenvedő betegeknél az enzim hibás változata található meg, a BH4-hiányban szenvedő betegeknél pedig alacsony a BH4, az enzim megfelelő működéséhez szükséges „kofaktor” szintje.

A Kuvan hatóanyaga, a szapropterin-dihidroklorid a BH4 szintetikus másolata. PKU esetén úgy fejti ki hatását, hogy fokozza a hibás enzim aktivitását, BH4-hiány esetén pedig pótolja a hiányzó kofaktort. Ezek a hatások segítik az enzim azon képességének helyreállítását, hogy a fenilalanint tirozinná alakítsa, ezáltal csökkenti a fenilalanin szintjét a vérben.

Milyen előnyei voltak a Kuvan alkalmazásának a vizsgálatok során?

A PKU kezelése terén a vér fenilalaninszintjének csökkenését egy 88 beteget bevonó fő vizsgálatban tanulmányozták, amelyben a betegeket Kuvan-nal vagy placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) kezelték. Két másik vizsgálatban 101 beteg bevonásával azt tanulmányozták, hogy a Kuvan milyen mértékben teszi lehetővé a fenilalanin-tartalmú ételek fogyasztását a fenilalanin vérben mért szintjének (fenilalanin tolerancia) megtartása mellett.

A PKU-ban szenvedő betegeknél a Kuvan hatásosabbnak bizonyult a placebónál, mivel a fenilalanin szintje hat hét elteltével 236 mikromol/literrel csökkent a Kuvan-kezelésben részesült betegeknél, míg a placebót kapó betegeknél 3 mikromol/literrel nőtt. Ezen túlmenően, a PKU-ban szenvedő, korlátozó diétát nem követő betegek a Kuvan alkalmazásával 10 hét elteltével testtömeg-kilogrammonként 17,5 mg-mal több fenilalanint fogyaszthattak naponta, a placebót szedők ezzel szemben 3,3 mg-mal többet fogyaszthattak. A korlátozó diétával kiegészített Kuvan-t a korlátozó diétával összehasonlítva, a betegek által tolerált napi átlagos fenilalanin fogyasztás 26 hét elteltével 81 mg/kg volt a Kuvan-nal kezelték körében, míg 50 mg/kg a kizárólag korlátozó diétát követők körében.

A nagyon ritka betegségként számon tartott BH4-hiány kezelésére vonatkozóan a vállalat által bemutatott eredmények olyan szakirodalomban szereplő, három vizsgálatból származtak, amelyekben egyes betegeket átlagosan 15,5 hónapig szapropterinnel kezelték. Ezekben a vizsgálatokban a betegeknél a gyógyszerrel végzett kezelés mellett a vér fenilalaninszintje és a betegség egyéb markerei javulást mutattak.

A Kuvan-nal végzett vizsgálatokban felnőttek és különböző korú gyermekek vettek részt.

Milyen kockázatokkal jár a Kuvan alkalmazása?

A Kuvan leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezik) a fejfájás és az orrfolyás.

A Kuvan alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Kuvan forgalomba hozatalát?

Az Ügynökség megállapította, hogy a Kuvan alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Kuvan biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Kuvan biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Kuvan-nal kapcsolatos egyéb információ

2008. december 2-án az Európai Bizottság a Kuvan-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Kuvan-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

A Kuvan-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Amennyiben a Kuvan-nal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 07-2017.