



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/701704/2017  
EMA/H/C/000943

## Sammanfattning av EPAR för allmänheten

---

# Kuvan

## sapropterindihydroklorid

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Kuvan. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Kuvan ska användas.

Praktisk information om hur Kuvan ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

### Vad är Kuvan och vad används det för?

Kuvan är ett läkemedel som används för att behandla höga nivåer av fenylalanin i blodet hos patienter med den genetiska störningen fenylketonuri (PKU) eller tetrahydrobiopterinbrist (BH4-brist).

Patienter med dessa störningar kan inte bryta ner aminosyran fenylalanin ur protein i kosten. Det leder till att onormalt höga nivåer av aminosyran ansamlas i blodet, vilket orsakar problem i nervsystemet.

Eftersom antalet patienter med tillstånd som leder till höga nivåer av fenylalanin i blodet är litet betraktas tillstånden som sällsynta och Kuvan klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 8 juni 2004.

Kuvan innehåller den aktiva substansen sapropterindihydroklorid.

### Hur används Kuvan?

Kuvan finns som upplösbara tabletter (100 mg) eller som pulver (100 eller 500 mg) som ska lösas upp i vatten och drickas. Kuvan är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla PKU och BH4-brist. Det är viktigt att patienterna fortsätter med en kost med låga halter av fenylalanin och protein när de tar Kuvan, och intaget av fenylalanin och protein måste övervakas och justeras så att nivåerna av fenylalanin och näringsbalansen kontrolleras. Kuvan är avsett för långtidsbehandling.



Startdosen av Kuvan beror på patientens vikt. Dosen anpassas sedan efter nivåerna av aminosyror i blodet, däribland fenylalanin. Kuvan tas i samband med måltid vid samma tid varje dag, helst på morgonen. För vissa patienter med BH4-brist kan det vara nödvändigt att dela upp den totala dygnsdosen i två eller tre doser, fördelade över dagen, för att uppnå bästa möjliga effekt.

Tillfredsställande behandlingssvar definieras som en sänkning av nivåerna av fenylalanin i blodet med minst 30 procent eller till en nivå som fastställs av läkaren. Om detta har uppnåtts efter en månad anses patienten ha svarat på behandlingen och kan fortsätta att ta Kuvan.

## Hur verkar Kuvan?

De höga nivåerna av fenylalanin i blodet beror på problem med att bryta ner fenylalanin med hjälp av enzymet fenylalaninhydroxylas. Patienter med PKU har defekta versioner av enzymet och patienter med BH4-brist har låga nivåer av BH4, en "kofaktor" som detta enzym behöver för att fungera korrekt.

Den aktiva substansen i Kuvan, sapropterindihydroklorid, är en syntetisk kopia av BH4. Vid PKU verkar den genom att förstärka det defekta enzymets aktivitet och vid BH4-brist ersätter det den saknade kofaktorn. Detta bidrar till att återställa enzymets förmåga att omvandla fenylalanin till tyrosin och därigenom sänka nivåerna av fenylalanin i blodet.

## Vilken nytta med Kuvan har visats i studierna?

Vid behandling av PKU jämfördes minskningarna av fenylalaninnivån i blodet i en huvudstudie på 88 patienter som behandlades med antingen Kuvan eller placebo (overksam behandling). I två andra studier på 101 patienter undersöktes Kuvans effekt när det gäller att göra så att patienterna kan inta föda innehållande fenylalanin och samtidigt hålla fenylalaninet i blodet på målnivåerna (dvs. fenylalanin-tolerans).

Kuvan var effektivare än placebo för att minska fenylalaninnivåerna i blodet hos patienter med PKU och gav en minskning med 236 mikromol per liter efter sex veckor, jämfört med en ökning med 3 mikromol per liter som observerades med placebo. Dessutom gjorde Kuvan att patienter med PKU som inte hade några kostrestriktioner kunde öka sitt dagliga intag av fenylalanin med 17,5 mg per kg kroppsvikt efter tio veckor, jämfört med 3,3 mg/kg med placebo. När Kuvan plus kostrestriktion jämfördes med endast kostrestriktion var det genomsnittliga intaget av fenylalanin som tolererades efter 26 veckor 81 mg/kg i Kuvan-gruppen och 50 mg/kg i gruppen med enbart kostrestriktion.

Vid behandling av BH4-brist, som är ett mycket sällsynt tillstånd, lade företaget fram resultat av tre studier från den publicerade litteraturen där några patienter behandlades med sapropterin under i genomsnitt 15,5 månader. I studierna visade patienterna en förbättring av nivåerna av fenylalanin i blodet och andra markörer för sjukdomen när de tog läkemedlet.

Studierna på Kuvan omfattade vuxna och barn i alla åldrar.

## Vilka är riskerna med Kuvan?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Kuvan (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) är huvudvärk och rinorré (rinnande näsa).

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Kuvan finns i bipacksedeln.

## Varför godkänns Kuvan?

EMA fann att nyttan med Kuvan är större än riskerna och rekommenderade att Kuvan skulle godkännas för försäljning.

## Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Kuvan?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Kuvan har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

## Mer information om Kuvan

Den 2 december 2008 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Kuvan som gäller i hela EU.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Kuvan från kommittén för sär läkemedel finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations).

EPAR för Kuvan finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Mer information om behandling med Kuvan finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 07-2017.