



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kokkuvõte üldsusele

Kanuma

alfasebelipaas

See on ravimi Kanuma Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloo andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta Kanuma kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate Kanuma kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Mis on Kanuma ja milleks seda kasutatakse?

Kanuma on ravim, mida kasutatakse lüsosomaalse happelise lipaasi puudulikkusega igas vanuses patsientide raviks. See on pärilik haigus, mida põhjustab ensüümi lüsosomaalse happelise lipaasi puudus; see ensüüm on vajalik rasvade lõhustamiseks rakus. Kui see ensüüm puudub või kui seda on vähe, kogunevad rasvad keharakkudesse ning põhjustavad selliseid sümptomeid nagu kasvupeetus ja maksakahjustus.

Et lüsosomaalse happelise lipaasi puudulikkusega patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Kanuma 17. detsembril 2010 harvikravimiks.

Ravim sisaldab toimeainena alfasebelipaasi.

Kuidas Kanumat kasutatakse?

Kanuma-ravi peaks toimima lüsosomaalse happelise lipaasi puudulikkuse, muude ainevahetushaiguste või maksahaiguste ravis kogenud arsti järelevalve all. Kanuma-ravi peaks teostama väljaõppinud tervishoiutöötaja, kes suudab pakkuda erakorralist meditsiiniabi (näiteks raske allergia korral). Kanuma on retseptiravim.

Seda turustatakse infusioonilahuse (veeni tilgutatava lahuse) kontsentratsioonina. Kanuma soovitatav annus on 1 mg kehamassi kilogrammi kohta, mida manustatakse infusioonina üks kord iga kahe nädala järel. Infusioon peab vältama 1–2 tundi.



Kiiresti progresseeruva haigusega alla 6 kuu vanustele patsientidele antakse ravimit mitte iga kahe nädala järel, vaid üks kord nädalas annuses 1 mg/kg. Kliinilise ravivastuse põhjal tuleb kaaluda annuse tõstmist tasemele 3 mg/kg üks kord nädalas.

Kanuma-raviga tuleks pärast diagnoosimist alustada võimalikult varakult ning see on näidustatud pikaajaliseks kasutamiseks.

Kuidas Kanuma toimib?

Kanuma toimeaine alfasebelipaas on lüsoosomaalse happelise lipaasi puudulikkusega patsientidel puuduva ensüümi koopia. Alfasebelipaas asendab puuduvat ensüümi ning aitab lagundada rasvu ja takistab nende kogunemist keharakkudes.

Milles seisneb uuringute põhjal Kanuma kasulikkus?

Kanumat on lüsoosomaalse happelise lipaasi puudulikkusega patsientidel uuritud 2 põhiuuringus. Esimene uuring hõlmas 9 imikut, kellel esines(id) kasvupeetus või muud tõendid haiguse kiirest progresseerumisest esimesel 6 elukuul. Uuringutest nähtus, et Kanuma-ravi saanud 9 imikust 6 elas 1. eluaastani. Kõigil 6 ellujäänud imikul paranes ka kasv.

Teises uuringus osales 66 patsienti (täiskasvanud ja lapsed) ja selles võrreldi Kanumat platseeboga (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitaja oli nende patsientide osakaal, kes pärast 5 kuud kestnud ravi saavutasid maksaensüümi ALAT normaalse sisalduse. ALAT-ensüümide suur sisaldus on maksakahjustuse näht. Selles uuringus saavutas Kanuma-ravi saanud patsientidest 31% (11 patsienti 36-st) ALAT-ensüümide normaliseerumise, võrreldes 7%-ga (2 patsienti 30-st) platseebot saanud patsientidest.

Mis riskid Kanumaga kaasnevad?

Kanuma kõige tõsisemad kõrvalnähtud (esinevad ligikaudu 3 patsiendil 100-st) on raskete allergiliste reaktsioonide nähtud ja sümptomid. Need nähtud ja sümptomid on muu hulgas ebamugavustunne rinnus, silmade punetus, lauturse, hingamisraskused, sügelev lööve, nõgeslööve, õhetus, eritis ninast, südametegevuse kiirenemine ja hingamise kiirenemine. Teatatud on ka ravimivastaste antikehade tekkimisest, eelkõige imikutel. Antikehade tekkimisel ei toimi Kanuma efektiivselt. Kanuma kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Kanumat ei tohi kasutada patsientidel, kellel on toimeaine suhtes esinenud eluohtlik allergiline reaktsioon, mis on pärast ravi katkestamist ja taasalustamist uuesti tekkinud. Samuti ei tohi seda kasutada patsientidel, kellel on eluohtlik allergia muna või Kanuma mis tahes koostisosa suhtes.

Miks Kanuma heaks kiideti?

Inimravimite komitee otsustas, et Kanuma kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas ravimi kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita. Komitee märkis, et puudub tulemuslik lüsoosomaalse happelise lipaasi puudulikkuse ravi ja et kiiresti progresseeruva haigusega imikute suremus on suur. Inimravimite komitee leidis, et Kanuma parandas märkimisväärselt imikute elulemust ning leevendas tõhusalt haiguse sümptomeid igas vanuses patsientidel. Ohutusega seoses ei ole tuvastatud suuremaid probleeme ning raskeid kõrvalnähtusi esines harva ja need olid talutavad. Ravimi pikaajalise kasu ja ohutuse kohta on siiski vaja täiendavaid andmeid.

Mis meetmed võetakse, et tagada Kanuma ohutu ja efektiivne kasutamine?

Töötati välja riskijuhtimiskava, et tagada Kanuma võimalikult ohutu kasutamine. Selle alusel lisati Kanuma omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele ravimi ohutusteave, kus on ka tervishoiuspetsialistide ja patsientide võetavad meetmed.

Lisaks on Kanumat turustaval ettevõttel käsil uuring kiiresti progresseeruva haigusega imikutega ning ta koostab igas vanuses patsientide registri, et saada lisateavet Kanuma pikaajalise kasu ja ohutuse, eelkõige allergiliste reaktsioonide riski ning ravimivastaste antikehade tekke kohta. Samuti varustab ettevõtte teabematerjalidega kõik arstid, kes tõenäoliselt Kanumat määravad, innustades neid patsiente registrisse lisama ja teavitades, kuidas jälgida patsiente antikehade suhtes ning ravida patsiente, kellel tekivad rasked allergilised reaktsioonid.

Lisateave on [riskijuhtimiskava kokkuvõttes](#).

Muu teave Kanuma kohta

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst ja riskijuhtimiskava kokkuvõte Kanuma kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Kui vajate Kanumaga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Kanuma kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.