



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (*odeviksibaat*)

Ülevaade ravimist Kayfanda ja ELis müügiloo väljastamise põhjendus

Mis on Kayfanda ja milleks seda kasutatakse?

Kayfanda on ravim, mida kasutatakse Alagille'i sündroomi põhjustatud kolestaatilise kiheluse (sapi kogunemisest tingitud tugev sügelus) raviks vähemalt 6-kuustel patsientidel.

Alagille'i sündroom on pärilik haigus, mille korral on takistatud sapi (maksas tekkiv vedelik, mis aitab lõhustada rasvu) normaalne eritumine maksast. Selle tulemusena kogunevad sapphapped maksas ja veres. Üks selle kogunemise sümptomitest on kolestaatiline kihelus.

Kayfanda sisaldab toimeainet odeviksibaati.

Kuidas Kayfandat kasutatakse?

Kayfanda on retseptiravim. Ravi peab alustama ja jälgima Alagille'i sündroomi ravis kogenud arst.

Kayfandat turustatakse suukaudsete kapslitena. Teise võimalusena võib kapsli avada ja puistata selle sisu üks kord ööpäevas toidule või vedelikule. Annus sõltub patsiendi kehamassist.

Kui ravi põhjustab rasket kõhulahtisust, mis kestab kauem kui kolm päeva, või kui kõhulahtisusest põhjustatud dehüdratsiooni leevendamiseks on vaja intravenoosseid vedelikke, võib Kayfanda annust vähendada. Kõhulahtisuse möödumisel võib annust suurendada.

Lisateavet Kayfanda kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Kayfanda toimib?

Kayfanda toimeaine odeviksibaat blokeerib niudesoole sapphappetransporteri (IBAT). See valk aitab transportida sapphapet soolestikust tagasi verre ja maksa. IBATi blokeerimisega hõlbustab odeviksibaat sapphappe eemaldamist soolestiku kaudu ja vähendab sapphappe kogust veres, leevendades kolestaatilise kiheluse sümptomeid.



Mis on uuringute põhjal Kayfanda kasulikkus?

Põhiuuringus, milles osales 52 Alagille'i sündroomiga last, tõendati, et Kayfanda vähendab kolestaatilist kihelust. Uuringus raviti patsiente kas Kayfanda või platseeboga (näiv ravim). Pärast 24-nädalast ravi vähenes Kayfandat saanud lastel hommikune ja õhtune kratsimine keskmiselt ligikaudu 1,7 punkti võrra, mõõdetuna Albireo ObsRO hooldaja küsimustikuga (vahend, mis aitab hooldajatel hinnata sügeluse raskusastet skaalal 0–4, kus kõrgem tulemus viitab tugevamale sügelusele), ja platseebot saanud lastel keskmiselt ligikaudu 0,8 punkti võrra.

Ravi Kayfandaga parandas ka kolestaatilise kiheluse põhjustatud unehäireid. Pärast 21–24 nädalat kestnud ravi vähenes Kayfandat saanud lastel ligikaudu 43% võrra nende päevade arv, mil nad vajasisid abi magama jäämiseks, ja ligikaudu 47% võrra nende päevade arv, mil nad vajasisid rahustamist magama jäämiseks; platseebot saanud lastel olid need näitajad vastavalt ligikaudu 10% ja 6%. Pärast 20. ja 24. ravinädalat oli Kayfandat saanud lastel sapphapete sisaldus veres vähenenud ligikaudu 88 µmol/l võrra ja platseebot saanud lastel ligikaudu 25 µmol/l võrra.

Mis on Kayfanda riskid?

Kayfanda kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Kayfanda kõige sagedam kõrvalnäht (võib esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on kõhulahtisus.

Miks Kayfanda ELis heaks kiideti?

Alagille'i sündroom on harvaesinev ja eluohtlik seisund. Tugev ja püsiv sügelus esineb 45–88%-l selle sündroomiga patsientidest. Kayfanda müügiloo andmise ajal olid Alagille'i sündroomiga seotud kolestaatilise kiheluse ravivõimalused piiratud.

Kuigi põhiuuringus oli teatud piiranguid, nt patsientide väike arv ja patsientide jälgimise lühike kestus, parandas ravi Kayfandaga oluliselt Alagille'i sündroomi sümptomeid, näiteks sügelust ja seonduvaid unehäireid. Kayfanda vähendas efektiivselt ka sapphapete sisaldust veres, mis on kolestaatilise kiheluse peamine põhjus.

Kuigi Kayfanda ohutusandmed on piiratud ja vaja on lisaandmeid, peetakse peamisi kõrvalnähte, nt neid, mis mõjutavad magu ja soolestikku, hallatavaks. Ravimi toimest lähtuvalt on ravimi tõhusus- ja ohutusprofiil täiskasvanutel sama mis lastel.

Euroopa Ravimiamet otsustas, et Kayfanda kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Kayfanda on saanud müügiloo erandlikel asjaoludel. See tähendab, et harvaesineva haiguse tõttu ei olnud võimalik saada Kayfanda kohta täielikku teavet. Ettevõtte peab esitama ravimi Kayfanda pikaajalise ohutuse uuringu tulemused kolestaatilise kiheluse ravis vähemalt 6-kuustel Alagille'i sündroomiga patsientidel. Euroopa Ravimiamet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe ravimi Kayfanda ohutuse ja efektiivsuse kohta.

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

Kayfanda ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Kayfanda kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Kayfanda oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Kayfanda kohta

Lisateave Kayfanda kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.