

EMA/701712/2017
EMA/H/C/000943

Kokkuvõte üldsusele

Kuvan

saproteriindivesinikkloriid

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

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

Mis on Kuvan ja milleks seda kasutatakse?

Kuvani kasutatakse vere suure fenüülalaniinisalduse raviks täiskasvanutel ja igas vanuses lastel, kellel esinevad sellised geneetilised haigused, nagu fenüülketonuuria või tetrahüdriopteriini (BH4) vaegus.

Nende haigustega patsientide organism ei töötle aminohapet fenüülalaniini (esineb toiduvalkudes) ja see tingib vere ebaharilikult suure aminohappesisalduse, mis põhjustab närvisüsteemiprobleeme.

Et suurt fenüülalaniinisaldust põhjustavate seisunditega patsiente on vähe ja need haigused esinevad harva, nimetati Kuvan 8. juunil 2004 harvikravimiks.

Kuvan sisaldab toimeainena saproteriindivesinikkloriidi.

Kuidas Kuvani kasutatakse?

Kuvani turustatakse lahustuvate tablettide (100 mg) ja pulbrina (100 või 500 mg), mis tuleb vees lahustada ja ära juua. Kuvan on retseptiravim. Ravi peab algama ja toimuma fenüülketonuuria ja tetrahüdriopteriini vaeguse ravis kogenud arsti järelevalve all. Kuvani kasutavad patsiendid peavad kindlasti jätkama fenüülalaniini- ja valgugaest dieeti ning fenüülalaniini- ja valgukogust tuleb jälgida ja kohandada, et reguleerida vere fenüülalaniinisaldust ja toitainete tasakaalu. Kuvan on ette nähtud pikaajaliseks kasutamiseks.

Kuvani annus oleneb patsiendi kehamassist. Seejärel annust kohandatakse vastavalt aminohapete, sealhulgas fenüülalaniini sisaldusele veres. Kuvani võetakse koos söögiga iga päev samal kellaajal, eelistatavalt hommikuti. Mõnel tetrahüdrobiopteriini vaegusega patsiendil võib parima toime saavutamiseks olla vaja jagada ööpäevane annus kahele või kolmele manustamiskorrale.

Rahuldavaks ravivastuseks on vere fenüülalaniinisalduse vähenemine vähemalt 30% võrra või arsti määratud tasemeni. Kui see saavutatakse ühe kuu jooksul, on patsiendil tekkinud ravivastus ja ta saab jätkata Kuvani kasutamist.

Kuidas Kuvan toimib?

Vere suure fenüülalaniinisalduse põhjus on fenüülalaniini lagunemisprotsessi häired. Tavaliselt osaleb selles ensüüm fenüülalaniini hüdrosülaas. Fenüülketonuuriaga patsientidel esinevad selle ensüümi defektsed versioonid ning tetrahüdrobiopteriini vaegusega patsientidel on liiga vähe tetrahüdrobiopteriini (selle ensüümi normaalseks funktsioneerimiseks vajalik kofaktor).

Kuvani toimeaine sapropteriindivesinikkloriid on tetrahüdrobiopteriini sünteetiline koopia. Fenüülketonuuriat korraldab see defektse ensüümi toimet ja tetrahüdrobiopteriini vaeguse korral asendab see puuduvat kofaktorit. See aitab taastada ensüümi võime muundada fenüülalaniini türosiiniks, vähendades seega vere fenüülalaniinisaldust.

Milles seisneb uuringute põhjal Kuvani kasulikkus?

Fenüülketonuuriat ravis võrreldi põhiuuringus vere fenüülalaniinisalduse vähenemist 88 patsiendil, keda raviti Kuvani või platseeboga (näiv ravim). Veel kahes uuringus, milles osales 101 patsienti, uuriti, kui efektiivne on Kuvan vere fenüülalaniinisalduse sihtväärtuse (st fenüülalaniini taluvuse) säilitamisel juhul, kui patsiendid tarbivad fenüülalaniini sisaldavaid toite.

Fenüülketonuuriaga patsientide vere fenüülalaniinisalduse vähendamisel oli Kuvan efektiivsem kui platseebo, vähendades 6 nädalal järel aminohappesisaldust 236 µmol/l võrreldes platseeboga täheldatud suurenemisega 3 µmol/l. Lisaks võimaldas Kuvan fenüülketonuuriaga patsientidel, kes ei piiranud oma toitumist, suurendada 10 nädala järel ööpäevast fenüülalaniini kogust 17,5 mg võrra kehamassi kg kohta võrreldes platseeboga täheldatud kogusega 3,3 mg/kg. Kuvani ja toitumispiirangu kombinatsiooni võrdlemisel ainult toitumispiiranguga oli 26 nädala järel Kuvani rühmas ööpäevas keskmiselt talutavaks fenüülalaniinikoguseks 81 mg/kg ning ainult toitumispiirangutega rühmas 50 mg/kg.

Tetrahüdrobiopteriini vaeguse (väga haruldane seisund) ravi kohta esitas ettevõtte kirjanduses avaldatud kolme uuringu tulemused. Uuringutes raviti patsiente sapropteriiniga keskmiselt 15,5 kuud. Nendes uuringutes paranesid sapropteriindivesinikkloriidi manustamise ajal vere fenüülalaniinisaldus ja haiguse teised markerid.

Kuvani uuringutes osalesid täiskasvanud ja igas vanuses lapsed.

Mis riskid Kuvaniga kaasnevad?

Kuvani kõige sagedamad kõrvalnähtud (esinenud enam kui 1 patsiendil 10st) on peavalu ja ninavoolus.

Kuvani kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Kuvan heaks kiideti?

Inimravimite komitee otsustas, et Kuvani kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas anda ravimi müügiloa.

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

Kuvani ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Muu teave Kuvani kohta

Euroopa Komisjon andis Kuvani müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidus, 2. detsembril 2008.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Kuvani kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Kuvani kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Kui vajate Kuvaniga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 07-2017.