



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/551825/2015
EMA/H/C/004004

Julkinen EPAR-yhteenveto

Kanuma

sebelipaasi alfa

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Kanuma-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä sekä suosituksiin Kanuman käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Kanuman käytöstä.

Potilas saa Kanuman käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Kanuma on ja mihin sitä käytetään?

Kanuma on lääke, jolla hoidetaan kaikenikäisiä potilaita, joilla on lysosomaalisen happaman lipaasin puutos. Se on perinnöllinen sairaus, jonka aiheuttaa lysosomaalinen hapan lipaasi -nimisen entsyymin puutos. Tätä entsyymiä tarvitaan rasvojen hajottamiseen soluissa. Kun tätä entsyymiä ei ole tai kun sitä on vain vähän, kehon soluihin alkaa kertyä rasvoja, mikä aiheuttaa kasvuhäiriöiden ja maksavaurioiden kaltaisia oireita.

Koska lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksesta kärsivien potilaiden määrä on pieni, tämä sairaus katsotaan harvinaiseksi, ja Kanuma määriteltiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoitoon käytettävä lääke) 17. joulukuuta 2010.

Sen vaikuttava aine on sebelipaasi alfa.

Miten Kanumaa käytetään?

Kanuma-hoito tulee toteuttaa sellaisen lääkärin valvonnassa, joka on perehtynyt lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen, muiden metabolisten sairauksien tai maksasairauksien hoitoon. Hoidon saa antaa koulutettu terveydenhuollon ammattilainen, joka osaa hoitaa myös lääketieteellisiä hätätapauksia (esimerkiksi vakavaa allergista reaktiota). Lääkevalmistetta saa vain lääkärin määräyksestä.



Kanumaa on saatavissa konsentraattina, josta tehdään infuusioliuos (tiputettavaksi laskimoon). Suositeltu annos on 1 mg painokiloa kohden joka toinen viikko. Infusion tulisi kestää 1–2 tuntia.

Potilailla, joiden sairaus etenee nopeasti ennen kuuden kuukauden ikää, annetaan 1 mg/kg kerran viikossa joka toisen viikon sijaan. Näiden potilaiden annosta voidaan suurentaa 3 mg:aan painokiloa kohti (kerran viikossa annettuna) hoitovasteesta riippuen.

Kanuma-hoito tulee aloittaa mahdollisimman pian diagnoosin tekemisen jälkeen, ja se on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön.

Miten Kanuma vaikuttaa?

Kanuman vaikuttava aine, sebelipaasi alfa, on kopio siitä entsyymistä, joka lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksesta kärsiviltä potilailta puuttuu. Sebelipaasi alfa korvaa puuttuvan entsyymin ja edistää siten rasvojen hajoamista sekä estää niiden kerääntymisen elimistöön.

Mitä hyötyä Kanumasta on havaittu tutkimuksissa?

Kanumaa on tutkittu kahdessa päätutkimuksessa, joihin osallistui lysosomaalisen happaman lipaasin puutosta sairastavia potilaita. Ensimmäisessä tutkimuksessa oli yhdeksän vauvaa, joilla oli kasvuhäiriöitä tai muita merkkejä siitä, että sairaus eteni nopeasti ennen kuin vauvat olivat täyttäneet kuusi kuukautta. Tutkimus osoitti, että yhdeksästä vauvasta, jotka saivat Kanumaa, kuusi pysyi elossa yhden vuoden ikään saakka. Kaikilla kuudella elossa pysyneellä vauvalla havaittiin myös kasvun edistymistä.

Toiseen tutkimukseen osallistui 66 potilasta (lapsia ja aikuisia), ja siinä Kanumaa verrattiin lumelääkkeeseen. Tehon päämittana oli niiden potilaiden osuus, joilla ALT-nimisen maksaentsyymin pitoisuus normalisoitui viiden kuukauden pituisen hoidon jälkeen. ALT-entsyymien suuri pitoisuus on merkki maksavauriosta. Tässä tutkimuksessa 31 prosentilla Kanumaa saaneista potilaista (11 potilaalla 36:sta) ALT-entsyymien pitoisuus normalisoitui, kun taas lumelääkeryhmässä pitoisuus normalisoitui vain seitsemällä prosentilla (kahdella potilaalla 30:stä).

Mitä riskejä Kanumaan liittyy?

Kanuman yleisimmät sivuvaikutukset (todettu noin kolmella potilaalla sadasta) ovat vakavien allergisten reaktioiden merkit ja oireet. Näitä ovat puristuksen tunne rinnassa, silmien punoitus, silmäluomien turpoaminen, hengitysvaikeudet, kutiseva ihottuma, nokkosihottuma, punoitus, nenän vuotaminen, nopea sydämensyke ja tiheä hengitys. Myös vasta-aineiden kehittymisestä lääkkeelle on ilmoitettu etenkin vauvoilla. Jos vasta-aineita kehittyy, Kanuma ei ehkä vaikuta tehokkaasti. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Kanuman ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Kanumaa ei saa antaa potilaille, jotka ovat saaneet vaikuttavasta aineesta hengenvaarallisen allergisen reaktion, joka on uusiutunut, kun hoito on lopetettu ja aloitettu uudestaan. Sitä ei saa antaa myöskään potilaille, joilla on hengenvaarallinen allergia kananmunille tai muille Kanuman sisältämille aineille.

Miksi Kanuma on hyväksytty?

Viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Kanuman hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli, että se hyväksytään käytettäväksi EU:ssa. Komitea totesi, ettei lysosomaalisen happaman lipaasin puutokseen ole tehokkaita hoitovaihtoehtoja ja että nopeasti etenevää sairautta sairastavien vauvojen kuolleisuus on suuri. Lääkevalmistekomitea katsoi, että Kanuma paransi vauvojen eloonjäämistä merkittävästi ja että se myös lievitti sairauden oireita kaikenikäisillä potilailla. Turvallisuuden osalta suuria huolenaiheita ei ole tunnistettu, ja vakavat sivuvaikutukset olivat

harvinaisia tai hallittavissa. Lääkkeen pitkäaikaisen käytön hyödyistä ja turvallisuudesta tarvitaan kuitenkin lisää tietoa.

Miten voidaan varmistaa Kanuman turvallinen ja tehokas käyttö?

Kanuman mahdollisimman turvallisen käytön varmistamiseksi on kehitetty riskinhallintasuunnitelma. Sen mukaisesti Kanuman valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty turvallisuustietoa mukaan lukien terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettaviksi tarkoitetut asianmukaiset varotoimet.

Lisäksi Kanumaa markkinoiva yhtiö tekee parhaillaan tutkimusta vauvoilla, joiden sairaus etenee nopeasti, ja perustaa rekisterin kaikenikäisistä potilaista, jotta Kanuman pitkäaikaisen käytön hyödyistä ja turvallisuudesta saataisiin lisää tietoa, etenkin allergisten reaktioiden riskistä ja vasta-aineiden kehittymisestä lääkelle. Yhtiö toimittaa myös perehdytysmateriaalia kaikille lääkäreille, joiden oletetaan määräävän Kanumaa. Lääkäreitä kehoitetaan lisäämään potilaiden tiedot rekisteriin, ja heille annetaan ohjeet siitä, miten potilaita seurataan vasta-aineiden kehittymisen varalta ja miten hoidetaan niitä potilaita, joille kehittyy vakavia allergisia reaktioita.

Lisätietoja löytyy [riskinhallintasuunnitelman yhteenvedosta](#)

Muuta tietoa Kanumasta

Kanumaa koskeva EPAR-arviointilausunto kokonaisuudessaan sekä riskinhallintasuunnitelman yhteenvedo ovat viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lisätietoja Kanuma-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Kanumasta antamasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.