



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (*odeviksibaatti*)

Yleistiedot Kayfandasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Kayfanda on ja mihin sitä käytetään?

Kayfanda on lääke, jota käytetään Alagillen oireyhtymän aiheuttaman kolestaattisen kutinan (sapen kertymisestä johtuva voimakas kutina) hoitoon vähintään 6 kuukauden ikäisillä potilailla.

Alagillen oireyhtymä on perinnöllinen sairaus, jossa sappi (maksan tuottama neste, joka auttaa pilkkomaan rasvoja) ei pääse poistumaan maksasta kunnolla, jolloin sappihappoa kertyy maksaan ja vereen. Yksi oire sapen kertymisestä on kolestaattinen kutina.

Kayfandan vaikuttava aine on odeviksibaatti.

Miten Kayfandaa käytetään?

Kayfandaa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon aloittavalla ja sitä valvovalla lääkärillä on oltava kokemusta Alagillen oireyhtymän hoidosta.

Kayfandaa on saatavana suun kautta kerran vuorokaudessa otettavina kapseleina. Vaihtoehtoisesti kapseli voidaan avata ja sen sisältö sirotella ruokaan tai juomaan. Annos määräytyy potilaan painon mukaan.

Jos hoito aiheuttaa yli kolme päivää kestävää vaikeaa ripulia tai jos tarvitaan laskimonsisäistä nesteytystä ripulin aiheuttaman kuivumisen hallitsemiseksi, Kayfandan annosta voidaan pienentää. Jos oireet häviävät, annosta voidaan jälleen nostaa.

Lisätietoja Kayfandan käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Kayfanda vaikuttaa?

Kayfandan vaikuttava aine odeviksibaatti estää sykkyräsuolen sappihapon kuljettajaproteiinin (IBAT) toiminnan. IBAT auttaa kuljettamaan sappihappoa suolistosta takaisin vereen ja maksaan. Estämällä IBAT-proteiinin toiminnan odeviksibaatti helpottaa sappihapon poistumista suolen kautta ja vähentää sappihapon määrää veressä, jolloin kolestaattisen kutinan oireet lievittyvät.



Mitä hyötyä Kayfandasta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimuksessa, johon osallistui 52 Alagillen oireyhtymää sairastavaa lasta, Kayfandan osoitettiin vähentävän kolestaattista kutinaa. Tässä tutkimuksessa potilaita hoidettiin joko Kayfandalla tai lumelääkkeellä. Kayfandaa saaneilla lapsilla kutina väheni 24 hoitoviikon jälkeen keskimäärin 1,7 pistettä aamuisen ja iltaisen raapimisen perusteella. Kutinaa mitattiin Albireo ObsRO -hoitajakyselyllä (väline, joka auttaa hoitajia kirjaamaan kutinan vaikeusasteen asteikolla 0–4 ja jossa suuret pisteet viittaavat vaikeampaan kutinaan). Lumelääkettä saaneilla lapsilla kutina väheni keskimäärin noin 0,8 pistettä.

Kayfanda-hoito paransi myös kolestaattisen kutinan aiheuttamia unihäiriöitä. Kayfandaa saaneilla lapsilla oli 21–24 hoitoviikon jälkeen noin 43 prosenttia vähemmän päiviä, joina he tarvitsivat apua nukahtamisessa, ja noin 47 prosenttia vähemmän päiviä, joina he tarvitsivat rauhoittelua nukahtaakseen. Lumelääkettä saaneilla lapsilla vastaavia päiviä oli 10 prosenttia vähemmän ja 6 prosenttia vähemmän. 20 ja 24 viikon hoidon jälkeen Kayfandaa saaneiden lasten veren sappihappopitoisuus pieneni noin 88 µmol/l, kun lumelääkettä saaneilla lapsilla se suureni noin 25 µmol/l.

Mitä riskejä Kayfandaan liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Kayfandan haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Kayfandan yleisin haittavaikutus (jota saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) on ripuli.

Miksi Kayfanda on hyväksytty EU:ssa?

Alagillen oireyhtymä on harvinainen hengenvaarallinen sairaus. Vaikeaa ja jatkuvaa kutinaa esiintyy 45–88 prosentilla oireyhtymään sairastuneista potilaista. Kayfandan hyväksymisen aikaan kolestaattisen kutinan hoitoon Alagillen oireyhtymän yhteydessä oli vain vähän vaihtoehtoja.

Vaikka päätutkimukseen liittyi joitakin rajoituksia, kuten potilaiden pieni määrä ja tutkimukseen osallistuneiden potilaiden seurannan lyhyt kesto, Kayfanda-hoito paransi merkittävästi Alagillen oireyhtymän oireita, kuten kutinaa ja siihen liittyviä unihäiriöitä. Kayfanda vähensi myös tehokkaasti sappihappojen pitoisuutta veressä, mikä on kolestaattisen kutinan pääasiallinen syy.

Kayfandan turvallisuutta koskevia tietoja on vähän, ja lisätietoja on kerättävä, mutta merkittävimpien haittavaikutusten, kuten mahaan ja suolistoon vaikuttavien haittavaikutusten, katsotaan olevan hallittavissa. Lääkkeen vaikutustavan perusteella sen tehon ja turvallisuusprofiilin katsotaan olevan aikuisilla samat kuin lapsilla.

Euroopan lääkevirasto katsoi näin ollen, että Kayfandan hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Kayfanda on saanut myyntiluvan ns. poikkeusolosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Kayfandasta ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Yhtiön on toimitettava tulokset tutkimuksesta, joka koskee Kayfandan pitkäaikaista turvallisuutta kolestaattisen kutinan hoidossa vähintään kuuden kuukauden ikäisillä Alagillen oireyhtymää sairastavilla potilailla. Euroopan lääkevirasto arvioi vuosittain kaikki uudet tiedot Kayfandan turvallisuudesta ja tehosta.

Miten voidaan varmistaa Kayfandan turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Kayfandan käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Kayfandan käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Kayfandasta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Kayfandasta

Lisätietoja Kayfandasta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.