



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

Résumé EPAR à l'intention du public

Kanuma sebelipase alfa

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Kanuma. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé l'a conduite à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Kanuma.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Kanuma, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

Qu'est-ce que Kanuma et dans quels cas est-il utilisé?

Kanuma est un médicament utilisé dans le traitement de patients de tout âge atteints d'un déficit en lipase acide lysosomale. Il s'agit d'une maladie héréditaire due à un déficit d'une enzyme appelée lipase acide lysosomale, qui est nécessaire pour dégrader des graisses à l'intérieur des cellules. Lorsque l'enzyme est absente ou n'est présente qu'en faibles quantités, les graisses s'accumulent dans les cellules du corps, ce qui entraîne des symptômes tels qu'un retard de croissance et des lésions du foie.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par un déficit en lipase acide lysosomale, la maladie est dite «rare». C'est pourquoi Kanuma a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares) le 17 décembre 2010.

Kanuma contient le principe actif sebelipase alfa.

Comment Kanuma est-il utilisé?

Le traitement par Kanuma doit être surveillé par un médecin expérimenté dans le traitement du déficit en lipase acide lysosomale, d'autres maladies métaboliques ou de maladies du foie. Le traitement doit être administré par un professionnel de la santé formé pour pouvoir faire face à des urgences médicales (comme une allergie sévère). Le médicament est délivré uniquement sur ordonnance.



Kanuma est disponible sous la forme d'un concentré permettant de préparer une solution pour perfusion (goutte-à-goutte dans une veine). La dose recommandée est de 1 mg par kilogramme de poids corporel, administrée une semaine sur deux. La perfusion doit durer d'environ 1 à 2 heures.

Chez les patients présentant une maladie en progression rapide avant l'âge de 6 mois, une dose de 1 mg/kg est administrée une fois par semaine au lieu d'une semaine sur deux; chez ces patients, la dose peut être augmentée à 3 mg/kg une fois par semaine, en fonction de la réponse au traitement.

Le traitement par Kanuma doit être instauré le plus tôt possible après le diagnostic et il est destiné à un usage à long terme.

Comment Kanuma agit-il?

Le principe actif de Kanuma, la sebelipase alpha, est une copie de l'enzyme qui est absente chez les patients atteints de déficit en lipase acide lysosomale. La sebelipase alpha remplace l'enzyme manquante, facilite la dégradation des graisses et empêche leur accumulation dans les cellules du corps.

Quels sont les bénéfices de Kanuma démontrés au cours des études?

Kanuma a fait l'objet de 2 études principales menées chez des patients atteints de déficit en lipase acide lysosomale. La première étude incluait 9 nourrissons présentant un retard de croissance ou d'autres signes d'une maladie à progression rapide dans les 6 premiers mois de leur vie. L'étude a montré que 6 des 9 nourrissons ayant reçu Kanuma ont survécu jusqu'à l'âge d'un an. Des améliorations de la croissance ont également été observées chez l'ensemble des 6 nourrissons survivants.

La seconde étude portait sur 66 patients (enfants et adultes) et visait à comparer Kanuma à un placebo (un traitement fictif). Le critère principal d'évaluation de l'efficacité était la proportion de patients qui ont atteint des taux normaux d'une enzyme du foie appelée ALAT après 5 mois de traitement. Des taux élevés d'enzyme ALAT sont un signe de lésions hépatiques. Dans cette étude, 31 % des patients ayant reçu Kanuma (11 sur 36) ont atteint des taux normaux d'enzyme ALAT, par comparaison à 7 % des patients ayant reçu un placebo (2 sur 30).

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Kanuma?

Les effets indésirables les plus graves observés sous Kanuma (chez environ 3 patients sur 100) sont des signes et des symptômes de réactions allergiques sévères. Celles-ci comprennent une gêne thoracique, des yeux rouges, un gonflement des paupières, une difficulté à respirer, une éruption avec démangeaisons, un urticaire, des bouffées vasomotrices, un écoulement nasal, une fréquence cardiaque rapide et une respiration rapide. Un développement d'anticorps dirigés contre le médicament a également été signalé, en particulier chez les nourrissons. Si des anticorps se développent, Kanuma peut ne pas fonctionner de manière efficace. Pour une description complète des effets indésirables observés sous Kanuma, voir la notice.

Kanuma ne doit pas être utilisé chez les patients ayant développé contre le principe actif une réaction allergique menaçant le pronostic vital, qui s'est de nouveau produite après l'arrêt et la reprise du traitement. Il ne doit pas non plus être utilisé chez les patients qui font une allergie menaçant le pronostic vital contre les œufs ou l'un des autres composants de Kanuma.

Pourquoi Kanuma est-il approuvé?

Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a considéré que les bénéfices de Kanuma sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée. Le comité a noté l'absence de tout traitement efficace pour le déficit en lipase acide lysosomale, ainsi que la mortalité élevée chez les nourrissons présentant la maladie à progression rapide. Le CHMP a considéré que Kanuma apportait des améliorations significatives en termes de survie chez les nourrissons et qu'il était efficace pour soulager les symptômes de la maladie chez les patients de tout âge. Concernant la sécurité, aucun problème majeur n'a été identifié et les effets indésirables graves étaient rares ou gérables. Cependant, des données complémentaires sont nécessaires sur les bénéfices et la sécurité du médicament à long terme.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Kanuma?

Un plan de gestion des risques a été élaboré pour s'assurer que Kanuma est utilisé d'une manière aussi sûre que possible. Sur la base de ce plan, des informations de sécurité ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice de Kanuma, y compris les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients.

De plus, la société qui commercialise Kanuma mène une étude chez les nourrissons présentant la maladie à progression rapide et elle établira un registre des patients de tous les âges pour collecter des informations complémentaires sur les bénéfices et la sécurité de Kanuma à long terme, en particulier sur le risque de réactions allergiques et le développement d'anticorps dirigés contre le médicament. La société fournira également du matériel éducatif à tous les médecins susceptibles de prescrire Kanuma, pour les encourager à inscrire les patients dans le registre et pour les informer des modalités du suivi des patients en ce qui concerne les anticorps et de la manière de gérer ceux qui développent des réactions allergiques graves.

Pour obtenir des informations complémentaires, voir le [résumé du plan de gestion des risques](#).

Autres informations relatives à Kanuma:

L'EPAR complet et le résumé du plan de gestion des risques relatifs à Kanuma sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pour plus d'informations sur le traitement par Kanuma, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Kanuma est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).