



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kayfanda (*odevixibat*)

Aperçu de Kayfanda et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

### Qu'est-ce que Kayfanda et dans quel cas est-il utilisé?

Kayfanda est un médicament utilisé dans le traitement du prurit cholestatique (démangeaisons intenses dues à une accumulation de bile) provoqué par le syndrome d'Alagille chez les patients âgés de six mois et plus.

Le syndrome d'Alagille est une maladie héréditaire dans laquelle la bile (un liquide produit dans le foie qui aide à dégrader les graisses) ne peut pas s'écouler correctement du foie, ce qui entraîne une accumulation d'acides biliaires dans le foie et le sang. L'un des symptômes de cette accumulation est le prurit cholestatique.

Kayfanda contient la substance active odevixibat.

### Comment Kayfanda est-il utilisé?

Kayfanda n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et surveillé par un médecin expérimenté dans le traitement du syndrome d'Alagille.

Kayfanda est disponible sous la forme de gélules à prendre par voie orale, ou bien la gélule peut être ouverte et son contenu saupoudré sur des aliments ou un liquide, une fois par jour. La dose dépend du poids corporel du patient.

Si le traitement provoque une diarrhée sévère d'une durée supérieure à trois jours, ou si des liquides intraveineux sont nécessaires pour gérer la déshydratation causée par la diarrhée, la dose de Kayfanda peut être réduite. Une fois que ce problème est résolu, la dose peut être augmentée.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Tuznue, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

### Comment Kayfanda agit-il?

La substance active de Kayfanda, l'odevixibat, bloque l'action d'une protéine connue sous le nom de transporteur iléal des acides biliaires (IBAT), qui aide à transporter les acides biliaires de l'intestin vers le sang et le foie. En bloquant l'IBAT, l'odevixibat facilite l'élimination des acides biliaires par l'intestin

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



et diminue la quantité d'acides biliaires dans le sang, soulageant ainsi les symptômes du prurit cholestatique.

## **Quels sont les bénéfices de Kayfanda démontrés au cours des études?**

Il a été démontré que Kayfanda réduit le prurit cholestatique dans une étude principale portant sur 52 enfants atteints du syndrome d'Alagille. Dans cette étude, les patients ont été traités soit par Kayfanda, soit par un placebo (un traitement fictif). Après 24 semaines de traitement, les enfants ayant reçu Kayfanda présentaient en moyenne une réduction du grattage d'environ 1,7 le matin et le soir, mesurée par le questionnaire du soignant Albireo ObsRO (un outil qui aide les soignants à enregistrer la gravité des démangeaisons, en utilisant une échelle de 0 à 4, avec des résultats plus élevés indiquant des démangeaisons plus graves), tandis que les enfants ayant reçu le placebo présentaient en moyenne une réduction d'environ 0,8.

Le traitement par Kayfanda a également entraîné une amélioration des troubles du sommeil causés par le prurit cholestatique. Après 21 à 24 semaines de traitement, les enfants ayant reçu Kayfanda ont présenté une réduction des démangeaisons d'environ 43 % les jours où ils avaient besoin d'aide pour s'endormir et une réduction d'environ 47 % les jours où ils avaient besoin d'apaisement pour s'endormir, contre une réduction d'environ 10 % et 6 % chez les enfants traités par placebo, respectivement. Après 20 et 24 semaines de traitement, les enfants sous Kayfanda présentaient une réduction de leurs taux sanguins d'acides biliaires d'environ 88 µmol/l, contre une augmentation d'environ 25 µmol/l chez les enfants sous placebo.

## **Quels sont les risques associés à l'utilisation de Kayfanda?**

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Kayfanda, voir la notice.

L'effet indésirable le plus couramment observé sous Kayfanda (qui peut toucher plus d'une personne sur 10) est la diarrhée.

## **Pourquoi Kayfanda est-il autorisé dans l'UE?**

Le syndrome d'Alagille est une affection rare qui met en jeu le pronostic vital. Des démangeaisons sévères et persistantes affectent entre 45 % et 88 % des personnes atteintes de ce syndrome. Au moment de l'approbation de Kayfanda, les options thérapeutiques pour le prurit cholestatique associé au syndrome d'Alagille étaient limitées.

Bien qu'il y ait eu certaines limites dans le cadre de l'étude principale, notamment le faible nombre de patients et la courte durée du suivi des patients dans l'étude, le traitement par Kayfanda a entraîné des améliorations significatives des symptômes liés au syndrome d'Alagille, tels que les démangeaisons et les troubles du sommeil associés. Kayfanda s'est également révélé efficace pour réduire les taux sanguins d'acides biliaires, qui sont la principale cause du prurit cholestatique.

Bien que les données sur la sécurité de Kayfanda soient limitées et que des informations supplémentaires doivent être collectées, les principaux effets indésirables, tels que ceux affectant l'estomac et l'intestin, sont considérés comme gérables. Sur la base du mode d'action du médicament, le profil d'efficacité et de sécurité chez l'adulte est considéré comme identique à celui observé chez l'enfant.

Dès lors, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Kayfanda sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Kayfanda. En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Kayfanda en raison de la rareté de la maladie. La société doit soumettre les résultats d'une étude sur la sécurité à long terme de Kayfanda pour le traitement du prurit cholestatique chez les patients âgés de six mois et plus atteints du syndrome d'Alagille. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute nouvelle information relative à la sécurité et à l'efficacité de Kayfanda.

### **Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Kayfanda?**

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Kayfanda ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Kayfanda sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Kayfanda sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

### **Autres informations relatives à Kayfanda:**

De plus amples informations sur Kayfanda sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda).