



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/551827/2015  
EMA/H/C/004004

## EPAR, sažetak za javnost

---

# Kanuma

## sebelipaz alfa

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije (EPAR) o lijeku Kanuma. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek da bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o primjeni lijeka Kanuma.

Praktične informacije o primjeni lijeka Kanuma bolesnici trebaju pročitati u uputi o lijeku, odnosno obratiti se svom liječniku ili ljekarniku.

### Što je Kanuma i za što se koristi?

Kanuma je lijek koji se koristi za liječenje bolesnika svih dobnih skupina s nedostatkom lizosomske kisele lipaze. Ovo je nasljedna bolest koja je uzrokovana manjkom enzima naziva lizosomska kiselina lipaza, koja je potrebna za razgradnju masti unutar stanica. Ako je enzim odsutan ili je dostupan samo u malim koncentracijama, masti se akumuliraju u stanicama tijela, uzrokujući simptome poput izostanka rasta i oštećenja jetre.

Budući da je broj bolesnika s diferenciranim karcinomom štitnjače nizak, ta se bolest smatra „rijetkom“ te je lijek Kanuma 17. prosinca 2010. uvršten u skupinu lijekova za rijetke bolesti.

Lijek sadrži djelatnu tvar sebelipaz alfa.

### Kako se Kanuma koristi?

Terapiju lijekom Kanuma treba nadzirati liječnik koji je iskusan u terapiji nedostatka lizosomske kisele lipaze, drugih metaboličkih bolesti ili bolesti jetre. Terapiju treba primjenjivati samo obučeno liječničko osoblje koje može upravljati medicinskom hitnim slučajevima (poput ozbiljne alergije). Lijek se izdaje samo na liječnički recept.

Kanuma je dostupan kao koncentrat za suspenziju za infuziju (drip u venu). Preporučena doza lijeka Kanuma iznosi 1 mg po kilogramu tjelesne težine primijenjena jednom svaka dva tjedna u obliku infuzije. Infuzija traje otprilike 1 do 2 sata.



U bolesnika koji boluju od bolesti koja brzo napreduje prije dobi od 6 mjeseci, doza od 1 mg/kg primjenjuje se jednom na tjedan umjesto jednom svaki drugi tjedan; u ovih se bolesnika doza može povećati na 3 mg/kg jednom na tjedan ovisno o odgovoru na terapiju.

Terapiju lijekom Kanuma treba započeti što je ranije moguće nakon postavljanje dijagnoze i predviđena je samo za dugotrajnu primjenu.

## **Kako djeluje Kanuma?**

Djelatna tvar lijeka Kanuma, sebelipaz alfa, kopija je enzima koji nedostaje u bolesnika s nedostatkom lizosomske kisele lipaze. Sebelipaz alfa zamjenjuje enzim koji nedostaje pomažući pri razgradnji masti i sprječava njihovo nakupljanje u tjelesnim stanicama.

## **Koje su koristi lijeka Kanuma utvrđene u ispitivanjima?**

Kanuma je ispitan u dva glavna ispitivanja u bolesnika s nedostatkom lizosomske kisele lipaze. Prvo je ispitivanje obuhvatilo 9 djece s izostankom rasta ili drugim dokazom brzo napredovane bolesti u prvih 6 mjeseci njihova života. Ispitivanjem je utvrđeno da je 6 od 9 djece koja su primila lijek Kanuma preživjelo do 1. godine života. Poboljšanja u rastu su također uočena u svih 6 preživjele djece.

Drugo je ispitivanje obuhvatilo 66 bolesnika (djece i odraslih) i usporedilo je lijek Kanuma s placebom (prividnim liječenjem). Glavna mjera djelotvornosti bio je razmjer bolesnika koji su postigli normalne razine jetrenih enzima naziva ALT nakon 5 mjeseci terapije. Visoke koncentracije enzima ALT znak su oštećenja jetre. U ovom ispitivanju, 31% bolesnika koji su primali lijek Kanuma (11 od 36) postiglo je normalne koncentracije enzima ALT, u usporedbi sa 7% bolesnika koji su primili placebo (2 od 30).

## **Koji su rizici povezani s lijekom Kanuma?**

Najozbiljnije nuspojave lijeka Kanuma (uočene kod otprilike 3 bolesnika na 100) su znakovi i simptomi ozbiljnih alergijskih reakcija. Ove reakcije uključuju nelagodu u prsima, crvenilo očiju, oticanje kapaka, otežano disanje, svrbljivi osip, osip, crvenjenje, curenje nosa, ubrzano kucanje srca i ubrzano disanje. Razvoj protutijela protiv lijeka također je prijavljen naročito u djece. Ako se razviju protutijela, Kanuma ne može djelotvorno funkcionirati. Potpuni popis svih nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Kanuma potražite u uputi o lijeku.

Kanuma se ne smije koristiti u bolesnika koji su imali alergijske reakcije opasne po život na djelatnu tvar, a koje su nastupile nakon prekida i ponovnog početka terapije. Također se ne smije koristiti u bolesnika s po život opasnim alergijama na jaja ili bilo koji sastojak lijeka Kanuma.

## **Zašto je lijek Kanuma odobren?**

Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) pri Agenciji odlučio je da koristi od lijeka Kanuma nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio njegovo odobrenje za korištenje u Europskoj uniji. Odbor je uočio nedostatak bilo kakvih djelotvornih terapija u slučaju nedostatka lizosomske kisele lipaze i visoke stope smrtnosti u djece s bolesti koja brzo napreduje. CHMP je zaključio da Kanuma rezultira značajnim poboljšanjima u preživljenju djece i da je djelotvorna u poboljšanju simptoma bolesti u bolesnika svih dobi. Vezano uz sigurnost, veći problemi nisu identificirani, a ozbiljne nuspojave su rijetke ili upravljive. No, potrebni su daljnji podaci o dugoročnim koristima i sigurnosti lijeka.

## **Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Kanuma?**

Pripremljen je plan upravljanja rizikom kako bi se osigurala što sigurnija primjena lijeka Kanuma. Na temelju tog plana, u sažetku opisa svojstava lijeka kao i u uputi o lijeku za lijek Kanuma nalaze se sigurnosne informacije, uključujući odgovarajuće mjere opreza kojih se zdravstveni djelatnici i bolesnici trebaju pridržavati.

Nadalje, tvrtka koja stavlja lijek Kanuma u promet provodi ispitivanje u djece s brzo napredujućom bolesti i uspostavit će registar bolesnika svih dobi kako bi prikupila daljnje informacije o dugoročnim koristima i sigurnoj primjeni lijeka Kanuma, posebice o riziku alergijskih reakcija i razvoju protutijela protiv lijeka. Tvrtka će također dostaviti edukacijski materijal liječnicima za koje se očekuje da će propisivati lijek Kanuma, potičući ih da upišu bolesnike u registar i informirajući ih o načinu praćenja bolesnika s obzirom na protutijela i upravljanje bolesnicima koji su razvili ozbiljne alergijske reakcije.

Dodatne informacije možete pronaći u [sažetku plana upravljanja rizikom](#)

## **Ostale informacije o lijeku Kanuma**

Cjeloviti EPAR za lijek Kanuma kao i sažetak plana upravljanja rizikom za lijek Kanuma nalaze se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports) Više informacija o terapiji lijekom Kanuma pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) ili se obratite svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti za lijek Kanuma dostupan je na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation)