



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (*odeviksibat*)

Pregled informacija o lijeku Kayfanda i zašto je odobren u EU-u

Što je Kayfanda i za što se koristi?

Kayfanda je lijek za liječenje kolestatskog pruritusa u Alagilleovom sindromu (ALGS), (intenzivnog svrbeža zbog nakupljanja žuči) u bolesnika u dobi od 6 mjeseci i starijih.

Alagilleov sindrom nasljedna je bolest kod koje se žuč (tekućina koju proizvodi jetra i koja pomaže u razgradnji masti) ne može pravilno izlučiti iz jetre, što rezultira nakupljanjem žučne kiseline u jetri i krvi. Jedan od simptoma tog nakupljanja je kolestatski pruritus.

Kayfanda sadrži djelatnu tvar odeviksibat.

Kako se Kayfanda koristi?

Kayfanda se izdaje samo na recept, a liječenje mora započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju Alagilleovog sindroma.

Lijek Kayfanda dostupan je u obliku kapsula koje se uzimaju kroz usta ili, alternativno, kapsula se može otvoriti i sadržaj kapsule posipati po hrani ili tekućini jednom dnevno. Doza lijeka ovisi o tjelesnoj težini bolesnika.

Ako terapija uzrokuje težak proljev koji traje dulje od tri dana ili ako su za ublažavanje dehidracije uzrokovane proljevom potrebne intravenske (IV) tekućine, doza lijeka Kayfanda može se smanjiti. Ako se problem s proljevom riješi, doza se može povećati.

Za više informacija o primjeni lijeka Kayfanda pročitajte uputu o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Kayfanda?

Djelatna tvar u lijeku Kayfanda, odeviksibat, blokira djelovanje bjelančevine poznate kao ilealni transporter žučne kiseline (engl. ileal bile acid transporter, IBAT) koji pomaže u prijenosu žučne kiseline iz crijeva natrag u krv i jetru. Blokiranjem IBAT-a odeviksibat olakšava uklanjanje žučne kiseline kroz crijeva i smanjuje količinu žučne kiseline u krvi, čime se ublažavaju simptomi kolestatskog pruritusa.

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

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

An agency of the European Union



Koje su koristi od lijeka Kayfanda utvrđene u ispitivanjima?

U glavnom ispitivanju, kojim je bilo obuhvaćeno 52 djece s Alagilleovim sindromom, utvrđeno je da lijek Kayfanda smanjuje kolestatski pruritus. U tom su ispitivanju bolesnici primali ili lijek Kayfanda ili placebo (prividno liječenje). Nakon 24 tjedna liječenja kod djece koja su primala lijek Kayfanda u prosjeku je zabilježeno smanjenje češanja od oko 1,7 ujutro i navečer, izmjereno prema upitniku za njegovatelje Albireo ObsRO (upitnik koji njegovateljima pomaže zabilježiti težinu češanja na ljestvici od 0 do 4, pri čemu viši rezultati upućuju na teže češanje), dok je kod djece koja su primila placebo u prosjeku zabilježeno smanjenje od oko 0,8.

Terapija lijekom Kayfanda također je ublažila poremećaj spavanja uzrokovan kolestatskim pruritusom. Nakon 21 do 24 tjedna liječenja u djece koja su primala lijek Kayfanda zabilježeno je smanjenje od oko 43 % u danima u kojima im je bila potrebna pomoć da zaspu i smanjenje od oko 47 % u danima u kojima su trebala umirujuća sredstva za spavanje, u usporedbi sa smanjenjem od oko 10 % i 6 % u djece koja su primala placebo. Nakon 20. i 24. tjedna liječenja, u djece koja su primala lijek Kayfanda zabilježeno je smanjenje razine žučne kiseline u krvi od oko 88 $\mu\text{mol/l}$ u usporedbi s povećanjem od oko 25 $\mu\text{mol/l}$ u djece koja su primala placebo.

Koji su rizici povezani s lijekom Kayfanda?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Kayfanda potražite u uputi o lijeku.

Najčešća nuspojava lijeka Kayfanda (koja se može javiti u više od 1 na 10 osoba) jest proljev.

Zašto je lijek Kayfanda odobren u EU-u?

Alagilleov sindrom rijetka je bolest opasna po život. Teški i trajni svrbež utječe na između 45 % i 88 % osoba s ovim sindromom. U vrijeme odobrenja lijeka Kayfanda postojale su ograničene mogućnosti liječenja kolestatskog pruritusa u Alagilleovom sindromu.

Iako su postojala određena ograničenja u pogledu glavnog ispitivanja, uključujući mali broj bolesnika i kratko trajanje praćenja bolesnika tijekom ispitivanja, terapija lijekom Kayfanda dovela je do znatnih poboljšanja simptoma Alagilleovog sindroma, kao što su svrbež i povezani poremećaji spavanja. Lijek Kayfanda bio je učinkovit i u snižavanju razine žučne kiseline u krvi, što je glavni uzrok kolestatskog pruritusa.

Iako su podatci o sigurnosti primjene lijeka Kayfanda ograničeni i potrebno je prikupiti dodatne informacije, smatra se da je glavne nuspojave, kao što su one koje utječu na želudac i crijeva, moguće kontrolirati. Na temelju načina na koji lijek djeluje, smatra se da su profil djelotvornosti i sigurnosti u odraslih osoba isti kao i u djece.

Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Kayfanda nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Lijek Kayfanda odobren je u „iznimnim okolnostima“. Razlog tome je nemogućnost dobivanja potpunih informacija o lijeku Kayfanda zbog toga što je bolest rijetka. Tvrtka mora dostaviti rezultate ispitivanja dugoročne sigurnosti lijeka Kayfanda za liječenje kolestatskog pruritusa u Alagilleovom sindromu u bolesnika u dobi od 6 mjeseci i starijih. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove informacije o sigurnosti i djelotvornosti lijeka Kayfanda.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Kayfanda?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Kayfanda nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Kayfanda kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Kayfanda pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Kayfanda

Više informacija o lijeku Kayfanda dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.