



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/701692/2017
EMA/H/C/000943

EPAR, sažetak za javnost

Kuvan

sapropterin dihidroklorid

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o procjeni (EPAR) lijeka Kuvan. 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 Kuvan.

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

Što je Kuvan i za što se koristi?

Kuvan je lijek koje se primjenjuje u liječenju visoke razine fenilalanina u odraslih i djece svih dobi s genetskim poremećajem fenilketonurijom ili nedostatkom tetrahidrobiopterina (BH4).

Bolesnici s tim poremećajima ne mogu preraditi aminokiselinu fenilalanin iz proteina u prehrani, zbog čega se aminokiselina nakuplja u krvi i doseže abnormalno visoke razine, što prouzročuje probleme sa živčanim sustavom.

Budući da postoji mali broj bolesnika sa stanjima koja uzrokuju visoke razine fenilalanina, ta se stanja smatraju „rijetkima“ pa se lijek Kuvan označava kao „lijek za liječenje rijetkih bolesti“ od 8. lipnja 2004.

Kuvan sadrži djelatnu tvar sapropterin dihidroklorid.

Kako se Kuvan koristi?

Lijek Kuvan dostupan je u obliku tableta za oralnu otopinu (100 mg) ili praška (100 ili 500 mg) koji se otapaju u vodi i piju. Kuvan se izdaje samo na liječnički recept, a terapiju mora započeti i nadzirati liječnik koji ima iskustva u liječenju fenilketonurije ili nedostatka BH4. Važno je da prehrana bolesnika tijekom terapije lijekom Kuvan sadrži niske razine fenilalanina i proteina, a unos fenilalanina i proteina mora se nadgledati i prilagođavati kao bi se osigurala kontrolirana razina fenilalanina u krvi i uravnotežena prehrana. Lijek Kuvan namijenjen je dugotrajnoj primjeni.



Početna doza lijeka Kuvan ovisi o tjelesnoj težini bolesnika. Doza se potom prilagođava ovisno o razinama aminokiselina u krvi, uključujući fenilalanin. Kuvan se uzima uz obrok u isto vrijeme svakog dana, po mogućnosti ujutro. Kod nekih bolesnika s nedostatkom BH4 dozu će možda trebati podijeliti na dvije ili tri doze tijekom dana kako bi se postigao najbolji učinak.

Zadovoljavajućim odgovorom smatra se smanjenje razine fenilalanina u krvi za barem 30 % ili do razine koju odredi liječnik. Ako se to postigne nakon mjesec dana, bolesnik se klasificira kao „bolesnik koji odgovara na lijek“ i može nastaviti uzimati lijek Kuvan.

Kako djeluje Kuvan?

Visoke razine fenilalanina u krvi posljedica su problema pri razgradnji fenilalanina uz pomoć enzima fenilalanin hidrosilaze. Bolesnici oboljeli od fenilketonurije imaju defektne verzije tog enzima, dok bolesnici s nedostatkom BH4 imaju niske razine BH4, „kofaktora“ koji je potreban za ispravno djelovanje enzima.

Djelatna tvar lijeka Kuvan, sapropterin dihidroklorid, sintetička je kopija BH4. U slučaju fenilketonurije, on djeluje na način da poboljšava aktivnost defektnog enzima, a u slučaju nedostatka BH4 zamjenjuje kofaktor koji nedostaje. To pomaže pri ponovnoj uspostavi sposobnosti enzima da fenilalanin pretvara u tirozin, čime se smanjuje razina fenilalanina u krvi.

Koje su koristi lijeka Kuvan dokazane u ispitivanjima?

U slučaju liječenja fenilketonurije, u glavnom ispitivanju uspoređeno je sniženje fenilalanina u krvi u 88 bolesnika koji su liječeni ili lijekom Kuvan ili placebo (prividnim liječenjem). U drugim dvama ispitivanjima, koja su obuhvatila 101 bolesnika, analiziralo se koliko učinkovito Kuvan omogućuje bolesnicima uzimanje hrane koja sadrži fenilalanin, a da razina fenilalanina u krvi pritom ostane na ciljanoj razini (podnošenje fenilalanina).

Lijek Kuvan bio je djelotvorniji od placeba u snižavanju razine fenilalanina u krvi u bolesnika s fenilketonurijom jer je njime postignuto sniženje od 236 mikromola po litri nakon 6 tjedana, u usporedbi s povećanjem od 3 mikromola po litri uz primjenu placeba. Osim toga, lijek Kuvan omogućio je oboljelima od fenilketonurije koji nisu bili na režimu ograničene prehrane povećanje dnevnog unosa fenilalanina od 17,5 mg/kg tjelesne težine nakon 10 tjedana, u usporedbi s 3,3 mg/kg uz primjenu placeba. Kada je terapija lijekom Kuvan uz ograničenu prehranu uspoređena samo s ograničenom prehranom, prosječni tolerirani dnevni unos fenilalanina nakon 26 tjedana iznosio je 81 mg/kg u skupini koja je primala lijek Kuvan, u usporedbi s 50 mg/kg u skupini koja je bila samo na ograničenoj prehrani.

Za liječenje nedostatka BH4, koji je vrlo rijetko stanje, tvrtka je podastrla rezultate triju ispitivanja iz objavljenih literature u kojima su neki pacijenti bili liječeni sapropterinom tijekom prosječnog razdoblja od 15,5 mjeseci. Tijekom tih ispitivanja u bolesnika je zabilježeno poboljšanje s obzirom na razine fenilalanina u krvi i ostale markere bolesti kada su primali lijek.

Ispitivanja s lijekom Kuvan uključivala su odrasle i djecu svih dobi.

Koji su rizici povezani s lijekom Kuvan?

Najčešća nuspojava lijeka Kuvan (zabilježena u više od 1 na 10 bolesnika) jesu glavobolja i rinoreja (curenje nosa).

Potpuni popis svih nuspojava i ograničenja zabilježenih pri primjeni lijeka Kuvan potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Kuvan odobren?

Agencija je zaključila da koristi lijeka Kuvan nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučila izdavanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

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

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

Ostale informacije o lijeku Kuvan

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje lijeka Kuvan u promet koje vrijedi na prostoru Europske unije od 2. prosinca 2008.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti o lijeku Kuvan nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Cjeloviti EPAR za lijek Kuvan nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Više informacija o liječenju lijekom Kuvan pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a), odnosno obratite se svojem liječniku ili ljekarniku.

Sažetak je posljednji put ažuriran: 07.2017.