



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/551805/2015
EMA/H/C/004004

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Kanuma

szebelipáz-alfa

Ez a dokumentum a Kanuma-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Kanuma alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Kanuma alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer a Kanuma és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Kanuma egy olyan gyógyszer, amelyet lizoszómális savas lipáz hiányban szenvedő, betegek kezelésére alkalmaznak bármilyen életkorban. Ez egy öröklött betegség, amelyet az úgynevezett lizoszómális savas lipáz enzim hiánya okoz, amely a sejtekben a zsírok lebontásához szükséges. Ha az enzim hiányzik vagy csupán kis mennyiségben van jelen, a zsírok felhalmozódnak a szervezet sejtjeiben, és olyan tüneteket okoznak, mint például a növekedés zavara vagy a májkárosodás.

Mivel a lizoszómális savas lipáz hiányban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Kanuma 2010. december 17-én megkapta a „ritka betegségek gyógyszere” (*orphan medicine*) minősítést.

A Kanuma hatóanyaga a szebelipáz-alfa.

Hogyan kell alkalmazni a Kanuma-t?

A Kanuma kezelést a lizoszómális savas lipáz hiány és egyéb metabolikus betegségek vagy májbetegségek kezelésében jártas orvosnak kell felügyelnie. A gyógyszert olyan, képzett egészségügyi szakember adhatja be, aki képes az orvosi sürgősségi helyzetek (például a súlyos allergia) kezelésére. A gyógyszer csak receptre kapható.



A Kanuma vénába adandó oldatos infúzió készítésére szolgáló koncentrátum formájában kapható. Az ajánlott adag testtömeg-kilogrammonként 1 mg kéthetente egyszer. Az infúziót körülbelül 1-2 óra alatt kell beadni.

Gyorsan progrediáló betegségben szenvedő betegek esetén hat hónapos kor előtt kéthetente helyett hetente 1 mg/ttkg-ot adnak. Ezeknél a betegeknél a kezelésre adott válasz függvényében a dózis hetente 3 mg/ttkg-ig emelhető.

A Kanuma-t a diagnózis felállítása után a lehető legkorábban meg kell kezdeni, és hosszútávú alkalmazásra szánták.

Hogyan fejti ki hatását a Kanuma?

A Kanuma hatóanyaga, a szebelipáz-alfa annak az enzimnek a másolata, amely hiányzik a lizoszómális savas lipáz hiányban szenvedő betegekből. A szebelipáz-alfa helyettesíti a hiányzó enzimet, így segíti a zsírok lebomlását és megállítja a szervezet sejtjeiben történő felhalmozódását.

Milyen előnyei voltak a Kanuma alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Kanuma-t két, lizoszómális savas lipáz hiányban szenvedő beteggel végzett fő vizsgálatban tanulmányozták. Az első vizsgálatban 9, növekedési zavart vagy a gyorsan progrediáló betegség egyéb jelét mutató csecsemő vett részt élete első 6 hónapjában. A vizsgálat kimutatta, hogy a 9, Kanuma-val kezelt csecsemőből 6 élte meg az egy éves életkort. Mind a hat túlélő csecsemőnél megfigyelhető volt a növekedés javulása is.

A második vizsgálatban 66 beteg (gyermekek és felnőttek) bevonásával a Kanuma-t placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) hasonlították össze. A hatékonyság fő mértéke azon betegek aránya volt, akiknél 5 hónapos kezelést követően az úgynevezett ALT májenzim szintje normális lett. A magas ALT enzim szint májkárosodásra utal. Ebben a vizsgálatban a Kanuma-val kezelt betegek 31%-ánál (36-ból 11) normalizálódott az ALT szint, míg a placebóval kezelt betegek esetén ez az arány 7% (30-ból 2) volt.

Milyen kockázatokkal jár a Kanuma alkalmazása?

A Kanuma leggyakoribb mellékhatásai (100 beteg közül körülbelül 3 betegnél jelentkezik) a súlyos allergiás reakció jelei és tünetei. Ezek közé tartozik a mellkasi diszkomfort érzés, a vörös szemek, a szemhéj duzzanat, a légzési nehézség, a viszkető kiütés, a csalánkiütés, a kipirulás, az orrfolyás, a gyors szívverés és a gyors légzés. Beszámoltak a gyógyszer elleni antitestek kialakulásáról is, különösen csecsemőknél. Amennyiben antitestek termelődnek, nem biztos, hogy a Kanuma hatékonyan működik. A Kanuma alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Kanuma nem alkalmazható olyan betegeknél, akiknél életveszélyes allergiás reakció lépett fel a hatóanyaggal szemben, amely visszatért a kezelés leállítására és újrakezdése után. Továbbá nem alkalmazható tojással vagy a Kanuma bármely összetevőjével szemben életveszélyes allergiát mutató betegeknél.

Miért engedélyezték a Kanuma forgalomba hozatalát?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy a Kanuma alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását. A bizottság megállapította a lizoszómális savas lipáz hiány hatékony kezelésének hiányát és a gyorsan progrediáló betegségben szenvedő csecsemők magas

mortalitását. A CHMP úgy vélte, hogy a Kanuma a csecsemők túlélésének szignifikáns javulását eredményezte, és hatékony volt a betegség tüneteinek javításában minden életkorban. A biztonságosság tekintetében fontos problémát nem azonosítottak, és a súlyos mellékhatások ritkák és kezelhetők voltak. Ugyanakkor további adatokra van szükség a gyógyszer hosszútávú előnyei és biztonságossága vonatkozásában.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Kanuma biztonság és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Kanuma lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján a Kanuma-ra vonatkozó alkalmazási előírást és betegtájékoztatót a biztonságos alkalmazással kapcsolatos információkkal egészítették ki, ideértve az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket.

Ezenfelül a Kanuma-t forgalmazó vállalat vizsgálatot végez gyorsan progrediáló betegségben szenvedő csecsemőkkel, és létrehoz egy betegregisztert minden életkorból, hogy további információkat szerezzen a Kanuma hosszútávú előnyeiről és biztonságosságáról, különösen az allergiás reakciók és a gyógyszer ellen kialakuló antitestek kockázatával kapcsolatban. A vállalat továbbá oktatási anyagot fog biztosítani a Kanuma-t várhatóan felíró orvosok részére, hogy ösztönözze őket arra, hogy vonják be a betegeket a regiszterbe, és hogy tájékoztassák őket arról, hogy hogyan kell a betegeket antitestek irányában ellenőrizni, és a súlyos allergiás reakciót mutató betegeket kezelni.

További információ a [kockázatkezelési terv összefoglalójában](#) található.

A Kanuma-val kapcsolatos egyéb információ

A Kanuma-ra vonatkozó teljes EPAR és kockázatkezelési terv összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Amennyiben a Kanuma-val történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Kanuma-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation