



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (*odevixibat*)

A Kayfanda-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Kayfanda és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Kayfanda-t az Alagille-szindróma által okozott koleztatikus eredetű pruritusz (az epe felhalmozódása miatti intenzív viszketés) kezelésére alkalmazzák 6 hónapos és idősebb betegeknél.

Az Alagille-szindróma egy örökletes betegség, amely során az epe (a májban termelődő folyadék, amely segít lebontani a zsírokat) nem tud megfelelően kiürülni a májból, ami az epesavak felhalmozódását eredményezi a májban és a vérben. Ennek a felhalmozódásnak az egyik tünete az epepangásos viszketés.

A Kayfanda hatóanyaga az odevixibat.

Hogyan kell alkalmazni a Kayfanda-t?

A Kayfanda csak receptre kapható, és a kezelést az Alagille-szindróma kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A Kayfanda szájon át alkalmazandó kapszulák formájában kapható, illetve ehelyett a kapszula felnyitható, és tartalmát naponta egyszer az ételre vagy a folyadékra kell szórni. Az adag a beteg testtömegétől függ.

Ha a kezelés három napnál hosszabb ideig tartó súlyos hasmenést okoz, illetve ha a hasmenés által okozott kiszáradás kezeléséhez intravénás (iv.) folyadékokra van szükség, a Kayfanda adagja csökkenthető. Ha ez elmúlik, az adag ismét növelhető.

A Kayfanda alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

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



Hogyan fejti ki hatását a Kayfanda?

A Kayfanda hatóanyaga, az odevixibat gátolja az ileális epesav-transzporter (IBAT) nevű fehérje működését, amely elősegíti az epesav visszajutását a bélrendszerből a vérbe és a májba. Az IBAT gátlása révén az odevixibat elősegíti az epesavnak a bélben keresztül történő eltávolítását, és csökkenti a vérben az epesav mennyiségét, ezáltal enyhítve a kolestatikus eredetű pruritisz tüneteit.

Milyen előnyei voltak a Kayfanda alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy 52, Alagille-szindrómában szenvedő gyermek részvételével végzett fő vizsgálatban a Kayfanda csökkentette a kolestatikus eredetű pruritisz szintjét. Ebben a vizsgálatban a betegeket Kayfanda-val vagy placebóval (hatóanyag nélküli kezelés) kezelték. 24 hetes kezelést követően a Kayfanda-val kezelt gyermekeknél átlagosan körülbelül 1,7-del csökkent a reggeli és esti viszketés mértéke az Albireo ObsRO ápolói kérdőív (egy olyan eszköz, amely 0-tól 4-ig terjedő skálán jelezhetik az ápolók a viszketés súlyosságát, és a magasabb eredmények súlyosabb viszketésre utalnak) alapján, míg a placebóval kezelt gyermekeknél ez az érték átlagosan körülbelül 0,8-del csökkent.

A Kayfanda-kezelés továbbá a kolestatikus eredetű pruritisz által okozott alvászavarok javulását eredményezte. 21–24 hetes kezelést követően a Kayfanda-val kezelt gyermekeknél körülbelül 43%-kal csökkent az olyan napok száma, amikor segítségre volt szükségük az elalváshoz, és körülbelül 47%-kal csökkent az olyan napok száma, amikor az elalváshoz megnyugtatóra volt szükségük, szemben ezeknél az értékeknél a placebóval kezelt gyermekek körében tapasztalt körülbelül 10%-os, illetve 6%-os csökkenéssel. 20 és 24 hetes kezelést követően a Kayfanda-val kezelt gyermekeknél az epesavak szintje körülbelül 88 µmol/l volt, míg a placebóval kezelt gyermekeknél körülbelül 25 µmol/l-rel emelkedett.

Milyen kockázatokkal jár a Kayfanda alkalmazása?

A Kayfanda alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Kayfanda leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a hasmenés.

Miért engedélyezték a Kayfanda forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Alagille-szindróma egy ritka és életveszélyes állapot. A súlyos és tartós viszketés a szindrómában szenvedő betegek 45-88%-át érinti. A Kayfanda jóváhagyásának időpontjában korlátozott kezelési lehetőségek álltak rendelkezésre az Alagille-szindrómával összefüggő kolestatikus eredetű pruritusz kezelésére.

Bár a fő vizsgálat bizonyos módon korlátozott volt, köztük a betegek kis száma és a vizsgálatban részt vevő betegek rövid ideig tartó utánkövetése miatt, a Kayfanda-kezelés jelentős javulást eredményezett az Alagille-szindróma tüneteiben, például a viszketésben és az ahhoz társuló alvászavarokban. A Kayfanda hatásos volt az epesavak vérszintjének csökkentésében is, amelyek a kolestatikus eredetű pruritisz fő okozói.

Bár a Kayfanda biztonságosságára vonatkozó adatok korlátozottak, és további információkra van szükség, a fő mellékhatások – például a gyomrot és a beleket érintő mellékhatások – kezelhetőnek tekinthetők. A gyógyszer hatása alapján felnőtteknél a hatásossági és biztonságossági profil azonosnak tekinthető a gyermekeknél tapasztalttal.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Kayfanda alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A Kayfanda forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Kayfanda-ról. A vállalatnak be kell nyújtania egy vizsgálat eredményeit, amely a Kayfanda hosszú távú biztonságosságát vizsgálta a kolesztatikus eredetű pruritisz kezelésében 6 hónapos és idősebb, Alagille-szindrómában szenvedő betegeknél. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden, a Kayfanda biztonságosságával és hatásosságával kapcsolatos új információt.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Kayfanda biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Kayfanda biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Kayfanda alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Kayfanda alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Kayfanda-val kapcsolatos egyéb információ

A Kayfanda-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.