



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/551806/2015
EMA/H/C/004004

Riassunto destinato al pubblico

Kanuma

sebelipase alfa

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Kanuma. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Kanuma.

Per informazioni pratiche sull'uso di Kanuma, i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Kanuma?

Kanuma è un medicinale usato nel trattamento di pazienti di tutte le età affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale, una malattia ereditaria causata dalla mancanza di un enzima denominato appunto lipasi acida lisosomiale, che è necessario per metabolizzare i grassi nelle cellule. Quando questo enzima è assente o è presente soltanto in quantità molto basse, i grassi si accumulano nelle cellule dell'organismo, provocando sintomi quali deficit della crescita e danno epatico.

Poiché il numero di pazienti affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale è basso, la malattia è considerata "rara" e Kanuma è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 17 dicembre 2010.

Kanuma contiene il principio attivo sebelipase alfa.

Come si usa Kanuma?

La terapia con Kanuma deve essere seguita da un medico esperto nel trattamento del deficit di lipasi acida lisosomiale, di altri disturbi metabolici o di malattie epatiche. Il trattamento deve essere somministrato da un operatore sanitario adeguatamente preparato, in grado di gestire le emergenze mediche (tra cui le allergie gravi). Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.



Kanuma è disponibile come concentrato per soluzione per infusione (flebo in vena). La dose raccomandata è 1 mg per chilogrammo di peso corporeo, da somministrare una volta ogni due settimane. L'infusione dovrebbe durare 1-2 ore circa.

Nei pazienti di età inferiore a sei mesi che presentano la malattia in rapida progressione, si somministra la dose di 1 mg/kg di peso corporeo una volta alla settimana anziché ogni due settimane; in questi soggetti la dose può essere aumentata fino a 3 mg/kg di peso corporeo una volta alla settimana, in funzione della risposta al trattamento.

Il trattamento con Kanuma deve essere iniziato il prima possibile dopo la diagnosi e continuato nel lungo termine.

Come agisce Kanuma?

Il principio attivo di Kanuma, sebelipase alfa, è una copia dell'enzima che manca nei pazienti affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale. Sebelipase alfa sostituisce l'enzima mancante, contribuendo alla metabolizzazione dei grassi e arrestandone l'accumulo nelle cellule dell'organismo.

Quali benefici di Kanuma sono stati evidenziati negli studi?

Kanuma è stato esaminato nell'ambito di due studi principali condotti in pazienti affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale. Al primo studio hanno partecipato nove bambini piccoli con deficit della crescita o altri segni di rapida progressione della malattia nei primi sei mesi di vita. Lo studio ha dimostrato che sei bambini su nove trattati con Kanuma hanno raggiunto l'anno di età. In tutti i sei bambini sopravvissuti sono stati inoltre osservati miglioramenti della crescita.

Il secondo studio, che ha interessato 66 pazienti (bambini e adulti), ha messo a confronto Kanuma con placebo (un trattamento fittizio). Il principale parametro dell'efficacia era la percentuale di pazienti nei quali si osservavano livelli normali di un enzima epatico denominato ALT dopo cinque mesi di trattamento. Livelli elevati di enzimi ALT sono un segno di danno epatico. In questo studio sono stati rinvenuti livelli normali di enzimi ALT nel 31 % (11 pazienti su 36) dei soggetti trattati con Kanuma rispetto al 7 % (2 su 30) dei soggetti cui è stato somministrato un placebo.

Quali sono i rischi associati a Kanuma?

Gli effetti indesiderati più comuni di Kanuma (che possono riguardare circa 3 pazienti su 100) sono i segni e i sintomi di gravi reazioni allergiche, tra cui senso di costrizione toracica, occhi arrossati, gonfiore delle palpebre, difficoltà respiratoria, orticaria, ponfi, vampate di calore, scolo nasale, tachicardia e affanno respiratorio. È stato inoltre riferito uno sviluppo di anticorpi contro il medicinale, soprattutto nei bambini piccoli. In tale evenienza, Kanuma potrebbe non agire in modo efficace. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Kanuma, vedere il foglio illustrativo.

Kanuma non deve essere usato in pazienti che hanno manifestato reazioni allergiche pericolose per la vita al principio attivo, che si sono ripresentate con la ripresa del trattamento dopo un'interruzione. Non deve inoltre essere somministrato a pazienti con un'allergia potenzialmente letale alle uova o a uno qualsiasi degli ingredienti di Kanuma.

Perché Kanuma è approvato?

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che i benefici di Kanuma sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE. Il comitato ha tenuto conto dell'assenza di terapie efficaci per il deficit di lipasi acida lisosomiale e dell'elevato tasso di mortalità nei bambini piccoli con malattia in rapida progressione. Il CHMP ha considerato che Kanuma

ha indotto significativi miglioramenti della sopravvivenza nei bambini piccoli e si è dimostrato efficace nell'alleviare i sintomi della malattia in soggetti di ogni età. Quanto alla sicurezza, non sono stati individuati problemi importanti, mentre gli effetti indesiderati gravi sono risultati rari o gestibili. Sono tuttavia necessari ulteriori dati sui benefici e sulla sicurezza del medicinale nel lungo termine.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Kanuma?

È stato elaborato un piano di gestione dei rischi per garantire che Kanuma sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di Kanuma sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

Inoltre, la ditta che commercializza Kanuma sta realizzando uno studio in bambini piccoli con malattia in rapida progressione e istituirà un registro di pazienti di tutte le età per acquisire ulteriori informazioni sui benefici e sulla sicurezza di Kanuma nel lungo termine, con particolare riguardo per il rischio di reazioni allergiche e lo sviluppo di anticorpi contro il medicinale. La ditta inoltre fornirà materiale informativo a tutti i medici che potrebbero prescrivere Kanuma, invitandoli a iscrivere i pazienti nel registro e indicando loro in che modo monitorare i pazienti relativamente allo sviluppo di anticorpi e come gestire quelli che manifestano gravi reazioni allergiche.

Ulteriori informazioni sono disponibili nel [riassunto del piano di gestione dei rischi](#).

Altre informazioni su Kanuma

Per la versione completa dell'EPAR e del riassunto del piano di gestione dei rischi di Kanuma consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Kanuma, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Kanuma è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).