



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (*odevixibat*)

Sintesi di Kayfanda e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Kayfanda e per cosa si usa?

Kayfanda è un medicinale usato per il trattamento del prurito colestatico (prurito intenso causato da un accumulo di bile) causato dalla sindrome di Alagille in pazienti di età pari o superiore a 6 mesi.

La sindrome di Alagille è una malattia ereditaria in cui la bile (un liquido prodotto nel fegato che aiuta a scomporre i grassi) non defluisce correttamente dal fegato, con conseguente accumulo di acidi biliari nel fegato e nel sangue. Uno dei sintomi di questo accumulo è il prurito colestatico.

Kayfanda contiene il principio attivo odevixibat.

Come si usa Kayfanda?

Kayfanda può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. La terapia deve essere iniziata e controllata da un medico esperto nel trattamento della sindrome di Alagille.

Kayfanda è disponibile sotto forma di capsule da assumere una volta al giorno per via orale; in alternativa, la capsula può essere aperta e il suo contenuto miscelato con cibo o disciolto in un liquido. La dose dipende dal peso corporeo del paziente.

La dose di Kayfanda può essere ridotta se il trattamento provoca una grave diarrea di durata superiore a tre giorni o se si rende necessario somministrare fluidi per via endovenosa al fine di gestire la disidratazione causata dalla diarrea. Se il problema si risolve, la dose può essere aumentata.

Per maggiori informazioni sull'uso di Kayfanda, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Kayfanda?

Il principio attivo di Kayfanda, odevixibat, blocca l'azione di una proteina nota come trasportatore degli acidi biliari ileali (IBAT) che contribuisce a riportare gli acidi biliari dall'intestino di nuovo al sangue e al fegato. Bloccando l'IBAT odevixibat facilita l'eliminazione degli acidi biliari nell'intestino e ne riduce la quantità nel sangue, alleviando i sintomi del prurito colestatico.

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



Quali benefici di Kayfanda sono stati evidenziati negli studi?

Uno studio principale condotto su 52 bambini affetti da sindrome di Alagille ha permesso di dimostrare che Kayfanda riduce il prurito colestatico. In questo studio ai pazienti sono stati somministrati Kayfanda o placebo (un trattamento fittizio). Dopo 24 settimane di trattamento, i bambini ai quali era stato somministrato Kayfanda presentavano in media una riduzione del prurito di circa 1,7 punti al mattino e alla sera, misurata mediante il questionario Albireo ObsRO per l'assistenza sanitaria (uno strumento che aiuta coloro che assistono il paziente a registrare l'intensità del prurito mediante una scala di punti da 0 a 4, in cui il punteggio più elevato corrisponde a un prurito più grave). I bambini ai quali era stato somministrato placebo evidenziavano invece una riduzione media di circa 0,8 punti.

Il trattamento con Kayfanda ha inoltre indotto un alleviamento dei disturbi del sonno causati dal prurito colestatico. Dopo 21-24 settimane di trattamento, i bambini ai quali era stato somministrato Kayfanda presentavano una riduzione di circa il 43 % nei giorni in cui necessitavano di aiuto per addormentarsi e di circa il 47 % nei giorni in cui necessitavano di sollievo per addormentarsi, rispetto a una riduzione rispettivamente di circa il 10 % e il 6 % nei bambini ai quali era stato somministrato placebo. Dopo 20 e 24 settimane di trattamento, i bambini ai quali era stato somministrato Kayfanda presentavano una riduzione dei livelli ematici degli acidi biliari di circa 88 $\mu\text{mol/L}$ rispetto a un aumento di circa 25 $\mu\text{mol/L}$ nei bambini ai quali era stato somministrato placebo.

Quali sono i rischi associati a Kayfanda?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Kayfanda, vedere il foglio illustrativo.

L'effetto indesiderato più comune di Kayfanda (che può riguardare più di 1 persona su 10) è la diarrea.

Perché Kayfanda è autorizzato nell'UE?

La sindrome di Alagille è un'affezione rara e potenzialmente mortale. Un prurito grave e persistente colpisce tra il 45 % e l'88 % delle persone affette da questa sindrome. Al momento dell'approvazione di Kayfanda esistevano opzioni di trattamento limitate per il prurito colestatico associato alla sindrome di Alagille.

Sebbene lo studio principale avesse riscontrato alcuni limiti, tra cui il numero ridotto di pazienti e la breve durata del follow-up degli stessi, il trattamento con Kayfanda ha apportato alleviamenti significativi dei sintomi della sindrome di Alagille, quali prurito e disturbi del sonno a esso associati. Kayfanda si è dimostrato efficace anche nel ridurre i livelli ematici degli acidi biliari, che sono la principale causa del prurito colestatico.

Mentre i dati sulla sicurezza di Kayfanda sono limitati e devono essere raccolte ulteriori informazioni, i principali effetti indesiderati, come quelli a carico dello stomaco e dell'intestino, sono considerati gestibili. Considerando il meccanismo d'azione del medicinale, il profilo di efficacia e sicurezza negli adulti è ritenuto lo stesso di quello nei bambini.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Kayfanda sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Kayfanda è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete sul medicinale a causa della rarità della malattia. La ditta deve presentare i risultati di uno studio sulla sicurezza a lungo termine di Kayfanda per il trattamento del prurito colestatico in pazienti di età pari o superiore a 6 mesi affetti da sindrome di Alagille. Ogni anno

L'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni relative alla sicurezza e all'efficacia di Kayfanda.

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

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Kayfanda sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Kayfanda sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Kayfanda sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Kayfanda

Ulteriori informazioni su Kayfanda sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.