



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/551807/2015
EMA/H/C/004004

EPAR santrauka plačiamajam visuomenėi

Kanuma

sebelipazė alfa

Šis dokumentas yra Kanuma Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatyti jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Kanuma.

Praktinės informacijos apie Kanuma vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

Kas yra Kanuma ir kam jis vartojamas?

Kanuma – tai vaistas, kuriuo gydomi visų amžiaus grupių pacientai, kuriems diagnozuotas lizosomų rūgštinės lipazės trūkumas. Tai yra paveldima liga, kurią sukelia riebalų skilimui ląstelėse reikalingo fermento, vadinamo lizosomų rūgštine lipaze, stoka. Kai šio fermento nėra arba jo yra tik nedaug, riebalai kaupiasi kūno ląstelėse, sukeldami tokius simptomus, kaip augimo sutrikimas ir kepenų pažeidimas.

Kadangi pacientų, kuriems trūksta lizosomų rūgštinės lipazės, nėra daug, ši liga laikoma reta, ir 2010 m. gruodžio 17 d. Kanuma buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Kanuma sudėtyje yra veikliosios medžiagos sebelipazės alfa.

Kaip vartoti Kanuma?

Gydymą Kanuma turi prižiūrėti gydytojas, turintis lizosomų rūgštinės lipazės trūkumo, kitų metabolizmo sutrikimų ar kepenų ligų gydymo patirties. Gydymo procedūrą turi atlikti kvalifikuotas sveikatos priežiūros specialistas, galintis suteikti skubią medicininę pagalbą (pvz., pasireiškus sunkios formos alergijai). Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.



Kanuma tiekiamas koncentrato, iš kurio ruošiamas infuzinis (į veną lašinamas) tirpalas, forma. Rekomenduojama dozė yra 1 mg/kg kūno svorio kas antrą savaitę. Vaistą reikia sulašinti į veną per maždaug 1–2 valandas.

Jaunesniems nei 6 mėnesių pacientams, kurių liga sparčiai progresuoja, 1 mg/kg dozė reikia lašinti kas savaitę, o ne kas antrą savaitę; atsižvelgiant į atsaką į gydymą, šiems pacientams vaisto dozė galima padidinti iki 3 mg/kg kartą per savaitę.

Diagnozavus ligą, Kanuma reikia pradėti vartoti kuo greičiau. Vaistas skirtas ilgalaikiam vartojimui.

Kaip veikia Kanuma?

Kanuma veikioji medžiaga sebelipazė alfa yra pacientams, kuriems diagnozuotas lizosomų rūgštinės lipazės trūkumas, trūkstamo fermento kopija. Pakeisdama trūkstamą fermentą, sebelipazė alfa padeda skaidyti riebalus ir neleidžia jiems kauptis kūno ląstelėse.

Kokia Kanuma nauda nustatyta tyrimuose?

Kanuma buvo tiriamas dviejuose pagrindiniuose tyrimuose su pacientais, kuriems diagnozuotas lizosomų rūgštinės lipazės trūkumas. Pirmajame tyrime buvo tiriami 9 kūdikiai, kurių augimas per pirmuosius 6 gyvenimo mėnesius buvo sutrikęs arba kuriems buvo nustatyta greitai progresuojančios ligos požymių. Tyrimo duomenimis, 6 iš 9 Kanuma gydytų kūdikių išgyveno iki 1 metų. Taip pat pagerėjo visų 6 išgyvenusių kūdikių augimas.

Antrajame tyrime su 66 pacientais (vaikais ir suaugusiaisiais) Kanuma buvo lyginamas su placebo (preparatu be veikliosios medžiagos). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientų, kurių organizme per 5 gydymo mėnesius pavyko normalizuoti kepenų fermento, vadinamo ALT, koncentracija, dalis. Didelė ALT koncentracija yra kepenų pažeidimo požymis. Šiame tyrime ALT koncentraciją pavyko normalizuoti 31 proc. (11 iš 36) Kanuma gydytų pacientų ir 7 proc. (2 iš 30) placebo vartojusių pacientų.

Kokia rizika siejama su Kanuma vartojimu?

Sunkiausi Kanuma šalutiniai reiškiniai (nustatomi maždaug 3 iš 100 pacientų) yra sunkių alerginių reakcijų požymiai ir simptomai. Tai yra nemalonus pojūtis krūtinėje, paraudusios akys, akių vokų patinimas, pasunkėjęs kvėpavimas, niežtintis išbėrimas, dilgėlinė, veido raudonis, varvanti nosis, pagreitėjęs širdies plakimas ir kvėpavimas. Taip pat buvo nustatyta šį vaistą veikiančių antikūnų susidarymo atvejų, ypač tarp kūdikių. Susidarius antikūnams, Kanuma gali būti neveiksmingas. Išsamų visų šalutinių reiškinų, apie kuriuos pranešta gydant Kanuma, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kanuma negalima vartoti pacientams, kuriems anksčiau pasireiškė gyvybei pavojinga alerginė reakcija į veikliąją medžiagą, kuri pasikartojo nutraukus ir vėl pradėjus gydymą tuo vaistu. Jo taip pat negalima vartoti pacientams, kuriems diagnozuota gyvybei pavojinga alergija kiaušiniams arba Kanuma sudedamosioms dalims.

Kodėl Kanuma buvo patvirtintas?

Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) nusprendė, kad Kanuma nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES. Komitetas atkreipė dėmesį į tai, kad rinkoje nėra veiksmingų priemonių lizosomų rūgštinės lipazės trūkumui gydyti, ir į didelį greitai progresuojančią ligą sergančių kūdikių mirštamumą. CHMP laikėsi nuomonės, kad Kanuma reikšmingai pagerina kūdikių išgyvenamumą ir yra veiksmingas, siekiant palengvinti visų amžiaus grupių pacientų ligos simptomus. Kalbant apie Kanuma saugumą, rimtų problemų nebuvo nustatyta, o rimtas šalutinis

poveikis pasireiškė retai arba jį pavyko suvaldyti. Vis dėlto reikia surinkti daugiau duomenų apie ilgalaikę šio vaisto naudą ir saugumą.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Kanuma vartojimą?

Siekiant užtikrinti kuo saugesnį Kanuma vartojimą, parengtas rizikos valdymo planas. Remiantis šiuo planu, į Kanuma preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtraukta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant atsargumo priemones, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Be to, Kanuma prekiaujanti bendrovė atlieka tyrimą su greitai progresuojančia liga sergančiais kūdikiais ir sukurs visų amžiaus grupių pacientų registrą, kad galėtų surinkti papildomos informacijos apie ilgalaikę Kanuma naudą ir saugumą, ypač apie alerginių reakcijų ir vaistą veikiančių antikūnų susidarymo pavojų. Bendrovė taip pat pateiks šviečiamąją medžiagą visiems gydytojams, kurie turėtų išrašyti Kanuma savo pacientams, kurioje jie bus raginami įtraukti savo pacientus į registrą ir informuojami, kaip stebėti pacientus dėl antikūnų susidarymo ir gydyti pacientus, kuriems pasireiškia sunkios alerginės reakcijos.

Išsamesnę informaciją galima rasti [rizikos valdymo plano santraukoje](#).

Kita informacija apie Kanuma

Išsamų Kanuma EPAR ir rizikos valdymo plano santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Daugiau informacijos apie gydymą Kanuma rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistų komiteto nuomonės apie Kanuma santrauką rasite agentūros interneto svetainėje: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.