



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (*odeviksibatas*)

Kayfanda apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Kayfanda ir kam jis vartojamas?

Kayfanda – tai vaistas, skirtas 6 mėnesių ir vyresnių pacientų, kurie serga Alaželio (*Alagille*) sindromu, cholestazinio niežulio gydymui.

Alaželio sindromas – tai paveldima liga, kuria sergant tulžis (kepenyse gaminamas skystis, kuris padeda skaidyti riebalus) negali tinkamai ištekėti iš kepenų, ir dėl to tulžies rūgštis kaupiasi kepenyse ir kraujyje. Vienas iš šio kaupimosi simptomų yra cholestazinis niežulys.

Kayfanda sudėtyje yra veikliosios medžiagos odeviksibato.

Kaip vartoti Kayfanda?

Kayfanda galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis Alaželio sindromo gydymo patirties.

Kayfanda tiekiamas geriamųjų kapsulių forma. Kapsulę taip pat galima atidaryti ir jos turinį suvartoti užbarsčius ant maisto arba skysčio. Šio vaisto vartojama kartą per parą. Vaisto dozė nustatoma pagal paciento kūno svorį.

Jeigu gydymas sukelia stiprų viduriavimą, trunkantį ilgiau kaip tris dienas, arba jeigu viduriavimo sukeltai dehidratacijai atstatyti reikia leisti skysčius į veną, Kayfanda dozę galima sumažinti. Kai viduriavimas praeina, vaisto dozę galima padidinti.

Daugiau informacijos apie Kayfanda vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Kayfanda?

Kayfanda veiklioji medžiaga odeviksibatas slopina baltymo, vadinamo klubinės žarnos tulžies rūgšties nešikliu (angl. *ileal bile acid transporter, IBAT*), kuris padeda tulžies rūgštį iš žarnyno pernešti į kraują ir kepenis, veikimą. Slopindamas *IBAT*, odeviksibatas palengvina tulžies rūgšties šalinimą iš žarnyno ir mažina tulžies rūgšties kiekį kraujyje, palengvindamas cholestazinio niežulio simptomus.

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



Kokia Kayfanda nauda nustatyta tyrimų metu?

Pagrindiniame tyrime su 52 Alaželio sindromu sergančiais vaikais nustatyta, kad Kayfanda mažina cholestazinį niežulį. Šiame tyrime pacientai buvo gydomi arba Kayfanda, arba placebo (preparatu be veikliosios medžiagos). Po 24 gydymo savaičių Kayfanda vartojusių vaikų grupėje pagal Albireo ObsRO slaugytojo klausimyną (priemonė, kuri padeda slaugytojams registruoti niežulio sunkumą naudojant 0–4 balų skalę, kurioje didesnė vertė rodo sunkesnę niežulį) nustatytas vidutinis maždaug 1,7 balo sumažėjimas ryte ir vakare, o placebo vartojusių vaikų grupėje – maždaug 0,8 balo.

Taikant gydymą Kayfanda, taip pat palengvėjo dėl cholestazinio niežulio atsiradę miego sutrikimai. Per 21–24 gydymo savaites Kayfanda vartojusių vaikų grupėje dienų, kai vaikui reikėjo padėti užmigti, sumažėjo maždaug 43 proc., o dienų, kai vaiką reikėjo raminti, kad jis užmigtu, – maždaug 47 proc., palyginti su atitinkamai maždaug 10 ir 6 proc. placebo vartojusių vaikų grupėje. Per 20 ir 24 gydymo savaites Kayfanda vartojusių vaikų tulžies rūgšties kiekis kraujyje sumažėjo maždaug 88 $\mu\text{mol/l}$, o placebo vartojusių vaikų – padidėjo maždaug 25 $\mu\text{mol/l}$.

Kokia rizika susijusi su Kayfanda vartojimu?

Išsamų visų Kayfanda šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Kayfanda šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra viduriavimas.

Kodėl Kayfanda buvo registruotas ES?

Alaželio sindromas yra reta gyvybei pavojinga liga. Stiprus ir nuolatinis niežulys pasireiškia 45–88 proc. šiuo sindromu sergančių žmonių. Kai Kayfanda buvo tvirtinamas, su Alaželio sindromu susijusio cholestazinio niežulio gydymo galimybių buvo nedaug.

Nors pagrindinis tyrimas turėjo tam tikrų trūkumų, įskaitant nedidelį pacientų skaičių ir trumpą tyrimo pacientų tolesnio stebėjimo laikotarpį, gydymas Kayfanda padėjo reikšmingai palengvinti Alaželio sindromo simptomus, pvz., niežulį ir susijusius miego sutrikimus. Kayfanda taip pat veiksmingai sumažino tulžies rūgšties kiekį kraujyje, kuris yra pagrindinė cholestazinio niežulio priežastis.

Nors duomenų apie Kayfanda saugumą yra nedaug ir reikia surinkti daugiau informacijos, laikomasi nuomonės, kad pagrindinį šalutinį poveikį, pavyzdžiui, pasireiškiantį skrandžiui ir žarnynui, galima kontroliuoti. Remiantis vaisto veiksmingumu, jo veiksmingumo ir saugumo charakteristikos gydant suaugusiuosius laikomos tokiomis pačiomis kaip ir gydant vaikus.

Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Kayfanda nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kayfanda registruotas išimtinėmis sąlygomis, nes dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie Kayfanda. Bendrovė turi pateikti ilgalaikio Kayfanda saugumo gydant cholestazinį niežulį tyrimo su 6 mėnesių ir vyresniais pacientais, sergančiais Alaželio sindromu, rezultatus. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją apie Kayfanda saugumą ir veiksmingumą.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Kayfanda vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Kayfanda vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Kayfanda vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Kayfanda šalutinis poveikis kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Kayfanda

Išsamią informaciją apie Kayfanda rasite Agentūros svetainėje adresu:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.