

EMA/701695/2017
EMA/H/C/000943

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Kuvan

sapropterino dihidrochloridas

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

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

Kas yra Kuvan ir kam jis vartojamas?

Kuvan yra vaistas, skiriamas padidėjusiai fenilalanino koncentracijai kraujyje mažinti suaugusiems ir bet kokio amžiaus vaikams, kuriems diagnozuota genetinė fenilketonurija ar tetrahidrobiopterino (BH4) trūkumas.

Šiuos sutrikimus turinčių pacientų organizmas negali perdirbti maisto baltymuose esančio amino rūgšties fenilalanino ir dėl to kraujyje susidaro pernelyg didelė amino rūgšties koncentracija, kuri sukelia nervų sistemos veiklos sutrikimų.

Kadangi pacientų, kurių sveikatos sutrikimai gali pasireikšti padidėjusia fenilalanino koncentracija kraujyje, nėra daug, šie sutrikimai laikomi retais, 2004 m. birželio 8 d. Kuvan priskirtas retųjų (retoms ligoms gydyti skirtų) vaistų kategorijai.

Kuvan sudėtyje yra veikliosios medžiagos sapropterino dihidrochlorido.

Kaip vartoti Kuvan?

Gaminamos tirpinamosios Kuvan tabletės (100 mg) arba milteliai (100 arba 500 mg), kuriuos reikia ištirpinti vandenyje ir išgerti. Kuvan galima įsigyti tik pateikus receptą. Gydymą turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis genetinės fenilketonurijos ir BH4 trūkumo gydymo patirties. Siekiant užtikrinti tinkamą fenilalanino koncentraciją kraujyje ir mitybos pusiausvyrą, Kuvan vartojantiems pacientams svarbu toliau laikytis dietos, kurioje būtų mažai fenilalanino ir baltymų. Būtina stebėti, kiek fenilalanino ir baltymų suvartojama. Kuvan skirtas ilgalaikiam vartojimui.

Pradinė Kuvan dozė priklauso nuo paciento kūno svorio. Vėliau dozę galima koreguoti atsižvelgiant į amino rūgščių, taip pat fenilalanino, kiekį kraujyje. Kuvan vartojamas su maistu kasdien tuo pačiu metu, geriausia ryte. Kad poveikis būtų geresnis, kai kuriems BH4 trūkumą turintiems pacientams dozę reikia padalinti į dvi arba tris paros dozes.

Gydymas laikomas veiksmingu tuomet, kai fenilalanino koncentracija kraujyje sumažėja bent 30 proc. arba iki kitos gydytojo nustatytos ribos. Jei toks rezultatas pasiekiamas per mėnesį, laikoma, kad gydymas sėkmingas, ir Kuvan skiriamas toliau.

Kaip veikia Kuvan?

Didelė fenilalanino koncentracija kraujyje susidaro tada, kai fermentas fenilalanino hidroksilazė nepakankamai skaido fenilalaniną. Fenilketonurija sergančių pacientų organizme šis fermentas yra pakitęs, o BH4 trūkumą turinčių pacientų organizmui trūksta BH4 – „kofaktoriaus“, kuris užtikrina gerą fermento veiklą.

Veiklioji Kuvan medžiaga, sapropterino dihidrochloridas, yra sintetinė BH4 kopija. Fenilketonurija sergančių pacientų organizme jis padidina pakitusio fermento aktyvumą, o BH4 trūkumą turinčiųjų – pakeičia trūkstamą kofaktorių. Šie procesai padeda atstatyti fermento gebėjimą paversti fenilalaniną tirozinu ir sumažinti fenilalanino koncentraciją kraujyje.

Kokia Kuvan nauda nustatyta tyrimuose?

Pagrindiniame fenilketonurijos tyrime, atliktame su 88 pacientais, gydomais Kuvan arba placebo (preparatu be veikliosios medžiagos), buvo lyginama, kaip sumažėja fenilalanino koncentracija, vartojant vieną arba kitą preparatą. Kituose dviejuose tyrimuose su 101 pacientu buvo tiriama, ar Kuvan poveikis leidžia pacientams vartoti maisto produktus, kuriuose yra fenilalanino, išlaikydamas tinkamą fenilalanino koncentraciją kraujyje (t.y. fenilalanino toleravimas).

Fenilketonurija sergantiems pacientams Kuvan veiksmingiau už placebo sumažino fenilalanino koncentraciją kraujyje. Per 6 savaites Kuvan gydytiems pacientams fenilalanino koncentracija sumažėjo 236 mikromoliais/litre, o pacientams, vartojusiems placebo, ji padidėjo 3 mikromoliais/litre. Be to, Kuvan gydomi fenilketonurija sergantys pacientai, kuriems nebuvo taikoma apribota dieta, po 10 savaičių galėjo padidinti per dieną suvartojamą fenilalanino kiekį 17,5 mg kilogramui kūno svorio, palyginti su 3,3 mg/kg placebo gydytų pacientų grupėje. Kai Kuvan ir kartu paskirtas dietos apribojimas buvo lyginami su gydymu vien tik dietos apribojimu, vidutinis gerai toleruojamas per dieną suvartojamo fenilalanino kiekis po 26 savaičių buvo 81 mg/kg Kuvan gydytų pacientų grupėje ir 50 mg/kg pacientų grupėje, kurioje taikytas tik dietos apribojimas.

Apie BH4 trūkumo (labai retos būklės) gydymą įmonė pateikė iš publikuotos literatūros paimtus trijų tyrimų, kuriuose dalis pacientų vidutiniškai 15,5 mėnesio buvo gydomi sapropterinu, rezultatus. Šiuose tyrimuose Kuvan vartojusiems pacientams sumažėjo fenilalanino koncentracija ir pagerėjo kiti ligos rodikliai.

Kuvan tyrimai atlikti su suaugusiais ir visų amžiaus grupių vaikais.

Kokia rizika siejama su Kuvan vartojimu?

Dažniausi Kuvan šalutiniai reiškiniai (pasireiškę daugiau kaip 1 pacientui iš 10) yra galvos skausmas ir rinorėja (išskyros iš nosies).

Išsamų visų šalutinių reiškinų ir apribojimų, nustatytų vartojant Kuvan, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Kuvan buvo patvirtintas?

Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) nusprendė, kad Kuvan nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Kuvan vartojimą?

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

Kita informacija apie Kuvan

Europos Komisija 2008 m. gruodžio 2 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Kuvan registracijos pažymėjimą.

Retųjų vaistų komiteto nuomonės apie Kuvan santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.

Išsamų Kuvan EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Daugiau informacijos apie gydymą Kuvan rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2017-07.