



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/551808/2015
EMA/H/C/004004

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Kanuma

alfa-sebelipāze

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Kanuma*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra ir novērtējusi šīs zāles, lai ieteiktu tās reģistrēt Eiropas Savienībā un sniegtu lietošanas nosacījumus. Tas nav paredzēts kā praktiski ieteikumi par *Kanuma* lietošanu.

Lai iegūtu praktisku informāciju par *Kanuma* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsazinās ar ārstu vai farmaceitu.

Kas ir *Kanuma* un kāpēc tās lieto?

Kanuma ir zāles, ko lieto, lai ārstētu jebkura vecuma pacientus ar lizosomu skābās lipāzes deficītu. Šī ir pārmantota slimība, ko izraisa par lizosomu skābo lipāzi dēvētā enzīma deficīts. Šis enzīms ir nepieciešams, lai šūnās sašķeltu taukus. Ja enzīma organismā nav vai tas ir tikai mazos daudzumos, organisma šūnās uzkrājas tauki, izraisot simptomus, piemēram, augšanas traucējumus un nieru bojājumus.

Tā kā lizosomu skābās lipāzes deficīta pacientu skaits ir mazs, šo slimību uzskata par retu un 2010. gada 17. decembrī *Kanuma* tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Šīs zāles satur aktīvo vielu alfa-sebelipāzi.

Kā lieto *Kanuma*?

Ārstēšana ar *Kanuma* jāuzrauga ārstam, kuram ir pieredze lizosomu skābās lipāzes deficīta, citu vielmaiņas slimību vai aknu slimību ārstēšanā. Zāļu ievadīšana jāveic apmācītam veselības aprūpes speciālistam, kurš spēj atbilstoši rīkoties ārkārtas situācijās (piemēram, smagas alerģijas gadījumā). Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kanuma ir pieejamas kā koncentrāts infūziju šķīduma pagatavošanai (ievadīšanai vēnā pa pilienam). Ieteicamā *Kanuma* deva ir 1 mg uz kilogramu ķermeņa svara reizi divās nedēļās. Infūzija jāveic aptuveni 1 līdz 2 stundu laikā.



Pacientiem, kuri ir jaunāki par 6 mēnešiem un kuru slimība strauji progresē, 1 mg/kg devu ievada reizi nedēļā, nevis reizi divās nedēļās. Atkarībā no atbildes reakcijas uz ārstēšanu šiem pacientiem devu var palielināt līdz 3 mg/kg reizi nedēļā.

Kanuma jāsāk lietot pēc iespējas ātrāk pēc diagnozes noteikšanas, un tās ir paredzētas ilgtermiņa lietošanai.

Kā *Kanuma* darbojas?

Kanuma aktīvā viela, alfa-sebelipāze, ir kopija enzīmam, kura pacientiem ar lizosomu skābās lipāzes deficītu trūkst. Alfa-sebelipāze aizstāj trūkstāšo fermentu, palīdzot noārdīt taukus un novēršot to uzkrāšanos organisma šūnās.

Kādas bija *Kanuma* priekšrocības šajos pētījumos?

Kanuma tika pētīta divos pamatpētījumos pacientiem ar lizosomu skābās lipāzes deficītu. Pirmajā pētījumā tika iesaistīti deviņi zīdaiņi ar augšanas traucējumiem vai citiem pierādījumiem par strauji progresējošu slimību pirmajos sešos dzīves mēnešos. Pētījumā pierādīja, ka seši no deviņiem zīdaiņiem, kuri saņēma *Kanuma*, izdzīvoja līdz 1 gada vecumam. Visiem sešiem zīdaiņiem, kuri izdzīvoja, novēroja augšanas uzlabojumu.

Otrajā pētījumā tika iesaistīti 66 pacienti (pieaugušie un bērni), un *Kanuma* tika salīdzināta ar placebo (neīstu ārstēšanas līdzekli). Galvenais efektivitātes kritērijs bija to pacientu daļa, kuriem pēc 5 mēnešu ārstēšanas tika sasniegts normāls aknu enzīma, ko dēvē par ALAT, līmenis. Augsts ALAT enzīmu līmenis ir aknu bojājuma pazīme. Šajā pētījumā normālu ALAT enzīmu līmeni sasniedza 31 % pacientu, kuri lietoja *Kanuma* (11 no 36), salīdzinājumā ar 7 % pacientu, kuri lietoja placebo (2 no 30).

Kāds risks pastāv, lietojot *Kanuma*?

Visbiežāk novērotās *Kanuma* blakusparādības (apmēram 3 pacientiem no 100) ir smagu alerģisku reakciju pazīmes un simptomi. Tostarp ir nepatīkama sajūta krūšu kurvī, apsārtušas acis, acs plakstiņu tūska, apgrūtināta elpošana, niezoši izsitumi, nātrene, apsārtums, tekošs deguns, paātrināta sirdsdarbība un paātrināta elpošana. Vēl ir ziņots par antivielu izstrādi pret zālēm, jo īpaši zīdaiņiem. Ja izstrādājas antivielas, *Kanuma* var nebūt efektīvas. Pilns visu *Kanuma* izraisīto blakusparādību saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Kanuma nedrīkst lietot pacientiem, kuriem ir bijusi dzīvību apdraudoša alerģija pret aktīvo vielu, kas pēc ārstēšanas apturēšanas un atkārtotas uzsākšanas sākās atkārtoti. Vēl tās nedrīkst lietot pacientiem ar dzīvību apdraudošu alerģiju pret olām vai jebkuru no *Kanuma* sastāvdaļām.

Kāpēc *Kanuma* tika apstiprināta?

CHMP nolēma, ka pacientu ieguvums, lietojot *Kanuma*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību. Komiteja atzīmēja, ka lizosomu skābās lipāzes deficīta ārstēšanai trūkst efektīvas ārstēšanas un ka zīdaiņiem ar strauji progresējošu slimību mirstība ir augsta. CHMP uzskatīja, ka *Kanuma* zīdaiņiem ievērojami uzlabo izdzīvošanu un visu vecumu pacientiem efektīvi samazina slimības simptomus. Attiecībā uz drošumu lielas problēmas nav noteiktas un smagas nevēlamās blakusparādības bija reti sastopamas vai bija kontrolējamas. Tomēr par zāļu ilgtermiņa ieguvumiem un zāļu drošumu nepieciešami papildu dati.

Kas tiek darīts, lai nodrošinātu nekaitīgu un efektīvu *Kanuma* lietošanu?

Lai nodrošinātu iespējami nekaitīgu *Kanuma* lietošanu, ir izstrādāts riska pārvaldības plāns. Pamatojoties uz šo plānu, *Kanuma* zāļu aprakstā ir ietverta drošuma informācija, kā arī lietošanas instrukcija, tostarp attiecīgi piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem.

Turklāt uzņēmums, kas laiž tirdzniecībā *Kanuma*, veic pētījumu zīdaiņiem ar strauji progresējošu slimību un izveidos visu vecumu pacientu reģistru, lai iegūtu papildu informāciju par *Kanuma* lietošanas ilgtermiņa ieguvumiem un drošumu, jo īpaši par alerģisku reakciju risku un antivielu izveidošanos pret zālēm. Visiem ārstiem, kuri varētu izrakstīt *Kanuma*, uzņēmums vēl nodrošinās izglītojošus materiālus, veicinot pacientu uzņemšanu reģistrā un informējot, kā pacientiem uzraudzīt antivielas un kontrolēt pacientus, kuriem rodas smagas alerģiskas reakcijas.

Papildu informācija ir pieejama [risku pārvaldības plāna kopsavilkumā](#).

Cita informācija par *Kanuma*

Pilns *Kanuma* EPAR teksts un riska pārvaldības plāna kopsavilkums ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Kanuma* atrodama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Kanuma* ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation