



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/551809/2015
EMA/H/C/004004

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Kanuma

sebelipase alfa

Dan huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Kanuma. Dan jispjega kif l-Aġenzija vvalutat il-medicina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni tiegħu fl-UE u l-kondizzjonijiet ta' użu tiegħu. Dan mhux intiż biex jipprovdi konsultazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Kanuma.

Għal informazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Kanuma, il-pazjenti għandhom jaqraw il-fuljett ta' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew spiżjar tagħhom.

X'inhu Kanuma u għal xiex jintuża?

Kanuma huwa medicina li tintuża fil-kura ta' pazjenti ta' kull età b'defiċjenza ta' lysosomal acid lipase. Din hija marda ereditarja kkawżata minn nuqqas ta' enzima msejha lysosomal acid lipase, li hija meħtieġa biex tkisser xaħmijiet ġewwa ċ-ċelloli. Meta l-enzima ma tkunx preżenti jew tkun preżenti f'livelli baxxi, ix-xaħmijiet jakkumulaw fiċ-ċelloli tal-ġisem, u jikkawża sintomi bħal falliment fit-tkabbir u ħsara fil-fwied.

Minhabba li l-għadd ta' pazjenti b'defiċjenza ta' lysosomal acid lipase huwa baxx, il-marda hija kkunsidrata 'rari', u Kanuma kien ikklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina użata f'mard rari) fis-17 ta' Diċembru 2010.

Kanuma fih is-sustanza attiva sebelipase alfa.

Kif jintuża Kanuma?

Il-kura b'Kanuma għandha tiġi ssorveljata minn tabib b'esperjenza fil-kura ta' deficijenza ta' lysosomal acid lipase, jew mard metaboliku jew mard tal-fwied ieħor. Il-kura għandha tingħata minn professjonist tal-kura tas-saħħa mħarreġ li jista' jimmaniġġja emergenzi mediċi (bħal allergija severa). Il-medicina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib.



Kanuma huwa disponibbli b'hala konċentrat li jiġi magħmul f'soluzzjoni għal infużjoni (dripp) ġol-vina. Id-doża rakkomandata hija ta' 1 mg għal kull kilogramma ta' piż tal-ġisem li tingħata darba kull ġimagħtejn. L-infużjoni għandha ddum bejn siegħa u sagħtejn.

F'pazjenti li għandhom marda li tavvanza b'mod rapidu qabel l-età ta' 6 xhur, tingħata doża ta' 1 mg/kg darba fil-ġimgħa minnflok darba kull ġimagħtejn; f'dawn il-pazjenti d-doża tista' tiżdied għal 3 mg/kg darba fil-ġimgħa skont ir-rispons għall-kura.

Kanuma għandu jinbeda kemm jista' jkun kmieni wara d-dijanjożi u huwa intiż għal użu fit-tul.

Kif jaħdem Kanuma?

Is-sustanza attiva f'Kanuma, sebelipase alfa, hija kopja tal-enzima li hija nieqsa f'pazjenti b'defiċjenza ta' lysosomal acid lipase. Sebelipase alfa tissostitwixxi l-enzima nieqsa, biex b'hekk tgħin fit-tkissir tax-xaħmijiet u twaqqafhom milli jakkumulaw fiċ-ċelloli tal-ġisem.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Kanuma li ħarġu mill-istudji?

Kanuma ġie studjat f'2 studji ewlenin f'pazjenti b'defiċjenza ta' lysosomal acid lipase. L-ewwel studju involva 9 trabi b'falliment fit-tkabbir jew evidenza oħra ta' marda li qiegħda tavvanza b'mod rapidu fl-ewwel 6 xhur ta' ħajjithom. L-istudju wera li 6 mid-9 trabi li ngħataw Kanuma baqgħu ħajjin sal-età ta' sena. Gie osservat ukoll titjib fit-tkabbir fis-6 trabi kollha li baqgħu ħajjin.

It-tieni studju involva 66 pazjent (tfal u adulti) u qabbel Kanuma ma' placebo (kura finta). Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-proporzjon ta' pazjenti li kisbu livelli normali ta' enzima tal-fwied imsejja ALT wara 5 xhur ta' kura. Livelli għoljin ta' enzimi ALT huma sinjali ta' ħsara fil-fwied. F'dan l-istudju, 31% tal-pazjenti li ngħataw Kanuma (11 minn 36) kisbu livelli normali ta' enzimi ALT, meta mqabbel ma' 7% tal-pazjenti li ngħataw placebo (2 minn 30).

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Kanuma?

L-effetti sekondarji l-aktar serji b'Kanuma (li dehru f'madwar 3 minn kull 100 pazjent) huma sinjali u sintomi ta' reazzjonijiet allergiċi severi. Dawn jinkludu skumdità fis-sider, għajnejn ħomor, nefha tal-kappell tal-għajn, diffikultà fin-nifs, raxx bil-ħakk, urtikarja, fawra, imnieher iqattar, taħbit tal-qalb mgħaġġel u nifs mgħaġġel. L-iżvilupp ta' antikorpi kontra l-medicina ġie wkoll rapportat speċjalment fi trabi. Jekk jiżviluppaw l-antikorpi, Kanuma ma jaħdimx b'mod effikaċi. Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji kollha rrappurtati b'Kanuma, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Kanuma m'għandux jintuża f'pazjenti li kellhom reazzjoni allergika li tipperikola l-ħajja għas-sustanza attiva li reġgħet seħhet wara li twaqqfet u reġgħet inbdiet il-kura. M'għandux ukoll jintuża f'pazjenti b'allergija li tipperikola l-ħajja għall-bajd jew xi ingredjent ieħor ta' Kanuma.

Għaliex ġie approvat Kanuma?

Il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) iddeċieda li l-benefiċċji ta' Kanuma huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomanda li jkun approvat għall-użu fl-UE. Il-Kumitat innota n-nuqqas ta' kuri effikaċi għad-defiċjenza ta' lysosomal acid lipase u l-mortalità għolja fi trabi b'marda li tavvanza b'mod rapidu. Is-CHMP ikkunsidra li Kanuma wassal għal titjib sinifikanti fis-sopravivenza tat-trabi, u kien effikaċi fit-titjib tas-sintomi tal-marda f'pazjenti ta' kull età. Fir-rigward tas-sigurtà, ma ġew identifikati ebda kwistjonijiet ewlenin u l-effetti sekondarji serji kienu rari jew maniġġabbli. Madankollu, hija meħtieġa iktar dejta biex jiġu żgurati l-benefiċċji fit-tul u s-sigurtà tal-medicina.

X'miżuri qegħdin jithehdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Kanuma?

Ġie żviluppat pjan ta' ġestjoni tar-riskju biex jiġi żgurat li Kanuma jintuża bl-aktar mod sigur possibbli. Abbażi ta' dan il-pjan, fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u l-fuljett ta' tagħrif ġiet inkluża informazzjoni rigward is-sigurtà ta' Kanuma, inklużi l-prekawzjonijiet xierqa li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti tal-kura tas-saħħa u l-pazjenti.

Barra minn hekk, il-kumpanija li tqiegħed Kanuma fis-suq qiegħdha twettaq studju fit-trabi b'marda li qiegħda tavvanza b'mod rapidu u sejra toħloq reġistru għal pazjenti ta' kull età biex tikseb aktar informazzjoni dwar il-benefiċċji fit-tul u s-sigurtà ta' Kanuma, b'mod partikolari dwar ir-riskju ta' reazzjonijiet allergiċi u l-iżvilupp ta' antikorpi kontra l-medicina. Il-kumpanija sejra tipprovdi wkoll materjal edukattiv lit-tobba kollha li huma mistennija jippreskrivu Kanuma, li tinkoraġġihom sabiex jirreġistraw il-pazjenti fir-reġistru u tinformahom dwar kif għandhom jissorveljaw pazjenti għal antikorpi u jimmaniġġjaw pazjenti li jiżviluppaw reazzjonijiet allergiċi.

Aktar informazzjoni tinstab [fis-sommarju tal-pjan tal-ġestjoni tar-riskju](#).

Informazzjoni oħra dwar Kanuma

L-EPAR sħiħ u s-sommarju tal-pjan tal-ġestjoni tar-riskju għal Kanuma jinstabu fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Kanuma, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew spizjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali Orfni għal Kanuma jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.