



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/551810/2015
EMA/H/C/004004

EPAR-samenvatting voor het publiek

Kanuma

sebelipase alfa

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Kanuma. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Kanuma.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Kanuma.

Wat is Kanuma en wanneer wordt het voorgeschreven?

Kanuma is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten van alle leeftijden met lysosomale zure lipasedeficiëntie. Dit is een erfelijke ziekte die wordt veroorzaakt door gebrek aan een enzym genaamd lysosomale zure lipase, dat nodig is voor het afbreken van vetten in cellen. Wanneer het enzym ontbreekt of slechts in lage concentraties aanwezig is, hopen vetten zich op in lichaamscellen, wat leidt tot symptomen zoals groeifalen en leverschade.

Aangezien het aantal patiënten met lysosomale zure lipasedeficiëntie klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Kanuma op 17 december 2010 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Kanuma bevat de werkzame stof sebelipase alfa.

Hoe wordt Kanuma gebruikt?

De behandeling met Kanuma moet plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van lysosomale zure lipasedeficiëntie, andere metabolische aandoeningen of leverziekten. De behandeling moet worden toegediend door een opgeleide beroepsbeoefenaar in de gezondheidszorg die medische noodgevallen (zoals een ernstige allergie) kan behandelen. Dit geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.



Kanuma is verkrijgbaar in de vorm van een concentraat voor oplossing voor infusie (indruppeling) in een ader. De aanbevolen dosis is 1 mg per kilogram lichaamsgewicht, eens in de twee weken toegediend. De infusie dient gedurende ongeveer één tot twee uur te worden toegediend.

Bij patiënten van minder dan zes maanden oud bij wie de ziekte snel verergert, wordt eenmaal per week een dosis van 1 mg/kg toegediend in plaats van eens in de twee weken; bij deze patiënten kan de dosis worden verhoogd tot 3 mg/kg eenmaal per week, afhankelijk van de respons op de behandeling.

De behandeling met Kanuma moet zo snel mogelijk na de diagnose worden gestart en is bedoeld voor langdurig gebruik.

Hoe werkt Kanuma?

De werkzame stof in Kanuma, sebelipase alfa, is een kopie van het enzym dat ontbreekt bij patiënten met lysosomale zure lipasedeficiëntie. Sebelipase alfa vervangt het ontbrekende enzym en helpt op die manier vetten af te breken en de ophoping ervan in lichaamscellen te stoppen.

Welke voordelen bleek Kanuma tijdens de studies te hebben?

Kanuma is onderzocht in twee hoofdonderzoeken bij patiënten met lysosomale zure lipasedeficiëntie. Bij het eerste onderzoek waren negen zuigelingen betrokken met groeifalen of andere aanwijzingen dat de ziekte snel verergerde tijdens de eerste zes maanden van hun leven. Uit het onderzoek bleek dat zes van de negen zuigelingen die Kanuma toegediend kregen, overleefden tot ze één jaar oud waren. Ook werd bij alle zes overlevende zuigelingen een verbetering van de groei waargenomen.

Bij het tweede onderzoek waren 66 patiënten (kinderen en volwassenen) betrokken en werd Kanuma vergeleken met placebo (een schijnbehandeling). De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was het percentage patiënten bij wie na vijf maanden behandeling normale concentraties van een leverenzym genaamd ALT werden bereikt. Hoge concentraties ALT-enzymen zijn een teken van leverschade. In dit onderzoek vertoonde 31% van de patiënten (11 van de 36) die Kanuma toegediend kregen, normale concentraties ALT-enzymen, ten opzichte van 7% van de patiënten (2 van de 30) die placebo toegediend kregen.

Welke risico's houdt het gebruik van Kanuma in?

De ernstigste bijwerkingen van Kanuma (waargenomen bij ongeveer 3 van de 100 patiënten) zijn tekenen en symptomen van ernstige allergische reacties. Het betreft onder meer een ongemakkelijk gevoel op de borst, rode ogen, zwelling van de oogleden, ademhalingsproblemen, jeukende huiduitslag, netelroos, blozen, loopneus, snelle hartslag en snelle ademhaling. De ontwikkeling van antilichamen tegen het geneesmiddel werd ook gemeld, vooral bij zuigelingen. Als zich antilichamen ontwikkelen, is de werking van Kanuma mogelijk niet effectief. Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Kanuma.

Kanuma mag niet worden gebruikt bij patiënten die een levensbedreigende allergische reactie op de werkzame stof hebben gehad die na stopzetting en hervatting van de behandeling opnieuw optrad. Het mag ook niet worden gebruikt bij patiënten met een levensbedreigende allergie voor eieren of een van de bestanddelen van Kanuma.

Waarom is Kanuma goedgekeurd?

Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Kanuma groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd dit middel

voor gebruik in de EU goed te keuren. Het CHMP wees op het ontbreken van effectieve behandelingen voor lysosomale zure lipasedeficiëntie en de hoge mortaliteit bij zuigelingen bij wie de ziekte snel verergert. Het CHMP was van mening dat Kanuma leidde tot een significante verbetering van de overleving bij zuigelingen en dat het werkzaam was bij het verbeteren van de symptomen van de ziekte bij patiënten van alle leeftijden. Er werden geen belangrijke veiligheidsproblemen vastgesteld en ernstige bijwerkingen waren zeldzaam of behandelbaar. Er zijn echter verdere gegevens nodig over de voordelen en veiligheid van het geneesmiddel op de lange termijn.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Kanuma te waarborgen?

Om een zo veilig mogelijk gebruik van Kanuma te waarborgen, is een risicobeheerplan opgesteld. Op basis van dit plan is in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiters van Kanuma veiligheidsinformatie opgenomen, onder andere over de gepaste voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen.

Bovendien voert het bedrijf dat Kanuma in de handel brengt momenteel een onderzoek uit bij zuigelingen bij wie de ziekte snel verergert en zal het ook een register opzetten van patiënten van alle leeftijden om verdere informatie te verkrijgen over de voordelen en veiligheid van Kanuma op de lange termijn, met name over het risico op allergische reacties en de ontwikkeling van antilichamen tegen het geneesmiddel. Het bedrijf zal ook voorlichtingsmateriaal verstrekken aan alle artsen die Kanuma naar verwachting gaan voorschrijven, waarin zij worden aangemoedigd patiënten in het register op te nemen en ze worden geïnformeerd over de manier waarop ze patiënten op antilichamen moeten controleren en patiënten met ernstige allergische reacties moeten behandelen.

Meer informatie is te vinden in de [samenvatting van het risicobeheerplan](#).

Overige informatie over Kanuma

Het volledige EPAR en de samenvatting van het risicobeheerplan voor Kanuma zijn te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Lees de bijsluiters (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Kanuma.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Kanuma is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.