



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (*odevixibat*)

Een overzicht van Kayfanda en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Kayfanda en wanneer wordt het voorgeschreven?

Kayfanda is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van cholestatische pruritus (hevige jeuk als gevolg van galstuwung) die wordt veroorzaakt door het syndroom van Alagille bij patiënten van 6 maanden en ouder.

Het syndroom van Alagille is een erfelijke ziekte waarbij gal (een vloeistof die in de lever wordt aangemaakt om vetten te helpen afbreken) niet goed uit de lever kan worden afgevoerd, waardoor galzuur zich ophoopt in de lever en in het bloed. Een van de symptomen van galstuwung is cholestatische pruritus.

Kayfanda bevat de werkzame stof odevixibat.

Hoe wordt Kayfanda gebruikt?

Kayfanda is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door en plaatsvinden onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van het syndroom van Alagille.

Kayfanda is verkrijgbaar in de vorm van capsules bedoeld voor inname via de mond. Als alternatief kan de capsule worden geopend en kan de inhoud eenmaal daags over voedsel of vloeistof worden gesprenkeld. De dosis is afhankelijk van het lichaamsgewicht van de patiënt.

Als de behandeling ernstige diarree veroorzaakt die langer dan drie dagen aanhoudt, of als intraveneuze (i.v.) vloeistoffen nodig zijn om uitdroging als gevolg van diarree tegen te gaan, kan de dosis Kayfanda worden verlaagd. Als dit verdwijnt, dan kan de dosis worden verhoogd.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Kayfanda.

Hoe werkt Kayfanda?

Odevixibat, de werkzame stof in Kayfanda, blokkeert de werking van het eiwit ileaal galzuurtransporteiwit (IBAT), dat helpt om galzuur van de darmen terug naar het bloed en de lever te

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



brengen. Door IBAT te blokkeren, vergemakkelijkt odeixibat de verwijdering van galzuur door de darmen en verlaagt het de hoeveelheid galzuur in het bloed, waardoor de symptomen van cholestatische pruritus worden verlicht.

Welke voordelen bleek Kayfanda tijdens de studies te hebben?

In een hoofdstudie onder 52 kinderen met het syndroom van Alagille bleek Kayfanda cholestatische pruritus te verminderen. In deze studie werd Kayfanda dan wel placebo (een schijnbehandeling) toegediend aan de patiënten. Na 24 weken behandeling was bij kinderen die Kayfanda kregen gemiddeld sprake van een afname van ongeveer 1,7 op de ochtend- en avonds specificaties zoals gemeten op basis van de vragenlijst van de zorgverlener in Albireo ObsRO (een instrument dat zorgverleners helpt om de ernst van de jeuk te registreren op een schaal van 0 tot 4, waarbij hogere resultaten wijzen op hevige jeuk), terwijl kinderen in de placebogroep gemiddeld een afname van ongeveer 0,8 vertoonden.

De behandeling met Kayfanda leidde ook tot een verbetering van de slaapstoornissen veroorzaakt door cholestatische pruritus. Na 21 tot 24 weken behandeling hadden kinderen die Kayfanda kregen een vermindering van ongeveer 43 % in het aantal dagen dat ze hulp nodig hadden om in slaap te vallen en een vermindering van ongeveer 47 % in het aantal dagen dat ze geruststelling nodig hadden om in slaap te vallen, vergeleken met een vermindering van respectievelijk ongeveer 10 % en 6 % bij kinderen die met placebo werden behandeld. Na 20 en 24 weken behandeling was bij kinderen die Kayfanda kregen toegediend de galzuurconcentratie in het bloed met ongeveer 88 µmol/l gedaald, tegenover een stijging van ongeveer 25 µmol/l bij kinderen die placebo kregen.

Welke risico's houdt het gebruik van Kayfanda in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Kayfanda.

De meest voorkomende bijwerking van Kayfanda (die bij meer dan 1 op de 10 personen kan optreden) is diarree.

Waarom is Kayfanda geregistreerd in de EU?

Het syndroom van Alagille is een zeldzame en levensbedreigende aandoening. Ernstige en aanhoudende jeuk treft tussen 45 % en 88 % van de mensen met dit syndroom. Ten tijde van de goedkeuring van Kayfanda waren er beperkte behandelingsopties voor cholestatische pruritus in verband met het syndroom van Alagille.

Hoewel de hoofdstudie een aantal beperkingen had, waaronder het kleine aantal patiënten en de korte follow-upduur van de patiënten, leidde behandeling met Kayfanda tot betekenisvolle verbeteringen van de symptomen van het syndroom van Alagille, zoals jeuk en daarmee samenhangende slaapstoornissen. Kayfanda was ook werkzaam bij het verlagen van de galzuurspiegels in het bloed, de belangrijkste oorzaak van cholestatische pruritus.

De gegevens over de veiligheid van Kayfanda zijn beperkt en er moet meer informatie worden verzameld. De belangrijkste bijwerkingen, zoals die welke invloed hebben op de maag en darmen, worden echter als beheersbaar beschouwd. Op basis van de werking van het geneesmiddel worden de werkzaamheid en het veiligheidsprofiel bij volwassenen geacht dezelfde te zijn als bij kinderen.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Kayfanda groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Kayfanda is goedgekeurd onder 'uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Kayfanda te verkrijgen. Het bedrijf moet de resultaten overleggen van een onderzoek naar de veiligheid van Kayfanda op lange termijn voor de behandeling van cholestatische pruritus bij patiënten van 6 maanden en ouder met het syndroom van Alagille. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuwe informatie over de veiligheid en werkzaamheid van Kayfanda beoordelen.

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

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Kayfanda, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Kayfanda continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Kayfanda worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Kayfanda

Meer informatie over Kayfanda is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.