



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/446507/2015  
EMA/H/C/004004

## Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

---

### Kanuma

#### sebelipaza alfa

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Kanuma. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Kanuma.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Kanuma należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

#### **Co to jest produkt Kanuma i w jakim celu się go stosuje?**

Produkt Kanuma to lek stosowany w leczeniu deficytu lizosomalnej kwaśnej lipazy u pacjentów w każdym wieku. Choroba ta jest spowodowana brakiem enzymu o nazwie lizosomalna kwaśna lipaza, który jest niezbędny do rozkładu tłuszczów w komórkach. Jeśli enzym jest nieobecny lub obecny tylko w niewielkich ilościach, tłuszcze gromadzą się w komórkach organizmu, powodując objawy takie jak zahamowanie wzrostu i uszkodzenie wątroby.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z deficytem lizosomalnej kwaśnej lipazy choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 17 grudnia 2010 r. produkt Kanuma uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Produkt Kanuma zawiera substancję czynną sebelipazę alfa.

#### **Jak stosować produkt Kanuma?**

Leczenie produktem Kanuma powinien nadzorować lekarz z doświadczeniem w leczeniu deficytu lizosomalnej kwaśnej lipazy, innych chorób metabolicznych lub chorób wątroby. Leczenie powinno być stosowane wyłącznie przez personel medyczny przeszkolony do działania w nagłych przypadkach (takich jak ciężka alergia). Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.



Lek Kanuma jest dostępny w postaci koncentratu, z którego sporządza się roztwór do infuzji (podawany dożylnie za pomocą kroplówki). Zalecana dawka leku to 1 mg/kg masy ciała co drugi tydzień. Infuzja powinna trwać od około 1 do 2 godzin.

W przypadku pacjentów, u których choroba wykazuje szybki postęp przed 6. miesiącem życia, dawka 1 mg/kg podawana jest raz w tygodniu zamiast co drugi tydzień; u takich pacjentów dawkę można zwiększyć do 3 mg/kg raz w tygodniu, zależnie od odpowiedzi na leczenie.

Leczenie produktem Kanuma należy rozpocząć jak najwcześniej po zdiagnozowaniu. Lek jest przeznaczony do długotrwałego stosowania.

## **Jak działa produkt Kanuma?**

Substancja czynna leku Kanuma, sebelipaza alfa, jest kopią enzymu, którego brakuje u pacjentów z deficytem lizosomalnej kwaśnej lipazy. Sebelipaza alfa zastępuje brakujący enzym, pomagając rozkładać tłuszcze i zatrzymując ich gromadzenie się w komórkach organizmu.

## **Jakie korzyści ze stosowania produktu Kanuma zaobserwowano w badaniach?**

Lek Kanuma zbadano w 2 badaniach głównych z udziałem pacjentów z deficytem lizosomalnej kwaśnej lipazy. W pierwszym badaniu wzięło udział 9 niemowląt z zahamowaniem wzrostu lub innymi oznakami wskazującymi na szybki postęp choroby w ciągu pierwszych 6 miesięcy życia. W badaniu wykazano, że 6 z 9 niemowląt, którym podawano lek Kanuma, przeżyło do 1. roku życia. Zaobserwowano również poprawę wzrostu u wszystkich 6 niemowląt, które przeżyły.

W drugim badaniu wzięło udział 66 pacjentów (dzieci i osoby dorosłe) i porównano w nim działanie leku Kanuma z placebo (leczeniem pozorowanym). Głównym kryterium oceny skuteczności był odsetek pacjentów, u których po 5 miesiącach leczenia osiągnięto prawidłowe stężenie enzymu wątrobowego o nazwie ALT. Wysokie stężenie enzymów ALT może świadczyć o uszkodzeniu wątroby. W badaniu tym prawidłowy poziom enzymów ALT uzyskało 31% (11 z 36) pacjentów, którym podawano lek Kanuma, w porównaniu z 7% (2 z 30) pacjentów przyjmujących placebo.

## **Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Kanuma?**

Najpoważniejsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Kanuma (obserwowane u około 3 pacjentów na 100) to oznaki i objawy ciężkich reakcji alergicznych. Należą do nich dyskomfort w klatce piersiowej, zaczerwienienie oczu, obrzęk powiek, trudności z oddychaniem, swędząca wysypka, pokrzywka, rumienienie się, występowanie wydzieliny z nosa, przyspieszone bicie serca i szybki oddech. Zgłoszono również wytwarzanie przeciwciał skierowanych przeciwko lekowi (szczególnie u niemowląt). W przypadku wytworzenia się przeciwciał lek Kanuma może nie być skuteczny. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Kanuma znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Produktu Kanuma nie wolno stosować u pacjentów, u których wystąpiła zagrażająca życiu reakcja alergiczna na substancję czynną, która nawróciła po zakończeniu i ponownym rozpoczęciu leczenia. Leku nie wolno również stosować u pacjentów z zagrażającą życiu alergią na jaja lub którykolwiek składnik leku Kanuma.

## **Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Kanuma?**

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji uznał, że korzyści ze stosowania produktu Kanuma przewyższają ryzyko, i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE.

Komitet zauważył brak skutecznych metod leczenia deficytu lizosomalnej kwaśnej lipazy i wysoką śmiertelność niemowląt z szybko postępującą chorobą. CHMP uznał, że stosowanie leku Kanuma prowadzi do istotnego zwiększenia przeżywalności niemowląt, a lek okazał się skuteczny w łagodzeniu objawów choroby u pacjentów w każdym wieku. W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania nie stwierdzono żadnych większych problemów, a poważne działania niepożądane występowały rzadko lub były możliwe do kontrolowania. Potrzeba jednak większej ilości danych dotyczących długoterminowych korzyści i bezpieczeństwa stosowania leku.

## **Jakie środki są podejmowane celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Kanuma?**

W celu zapewnienia możliwie najbezpieczniejszego stosowania produktu Kanuma opracowano plan zarządzania ryzykiem. W oparciu o ten plan w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta dotyczących produktu Kanuma zawarto informacje dotyczące bezpieczeństwa, w tym odpowiednie środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów.

Ponadto firma wprowadzająca produkt Kanuma do obrotu przeprowadza badanie u niemowląt z szybko postępującą chorobą i będzie prowadzić rejestr pacjentów w każdym wieku w celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących długoterminowych korzyści i bezpieczeństwa stosowania leku Kanuma, w szczególności w zakresie ryzyka wystąpienia reakcji alergicznych i wytworzenia przeciwciał skierowanych przeciwko lekowi. Dodatkowo firma dostarczy materiały edukacyjne dla lekarzy, którzy mieliby przepisywać lek Kanuma, zachęcając ich do umieszczania pacjentów w rejestrze i informując o sposobie kontrolowania pacjentów pod kątem wytworzenia przeciwciał i sposobie postępowania z pacjentami, u których pojawiły się ciężkie reakcje alergiczne.

Więcej informacji znajduje się w [streszczeniu planu zarządzania ryzykiem](#)

## **Inne informacje dotyczące produktu Kanuma:**

Pełne sprawozdanie EPAR i streszczenie planu zarządzania ryzykiem dotyczące produktu Kanuma znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Kanuma należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Kanuma znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).