



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (odewiksybat)

Przegląd wiedzy na temat leku Kayfanda i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Kayfanda i w jakim celu się go stosuje

Kayfanda jest lekiem stosowanym w leczeniu świądu cholestatycznego (intensywnego świądu związanego z gromadzeniem się żółci) spowodowanego zespołem Alagille’a u pacjentów w wieku od 6 miesięcy.

Zespół Alagille’a to choroba dziedziczna, w przebiegu której żółć (płyn wytwarzany w wątrobie, który pomaga w rozkładaniu tłuszczów) nie jest prawidłowo odprowadzany z wątroby, co prowadzi do nagromadzenia się kwasów żółciowych w wątrobie i we krwi. Jednym z objawów gromadzenia się żółci jest świąd cholestatyczny.

Substancją czynną zawartą w leku Kayfanda jest odewiksybat.

Jak stosować lek Kayfanda

Lek wydawany na receptę. Leczenie musi rozpoczynać i nadzorować lekarz z doświadczeniem w leczeniu zespołu Alagille’a.

Lek Kayfanda jest dostępny w postaci kapsułek do przyjmowania doustnego. Kapsułkę można też otworzyć i wsypać jej zawartość do pokarmu lub płynu raz na dobę. Dawka zależy od masy ciała pacjenta.

Jeżeli leczenie powoduje ciężką biegunkę trwającą dłużej niż trzy dni lub jeżeli w celu zahamowania odwodnienia spowodowanego biegunką konieczne jest dożylne podawanie płynów, wówczas dawkę leku Kayfanda można zmniejszyć. W przypadku ustąpienia objawów dawkę można zwiększyć.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Kayfanda znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

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



© European Medicines Agency, 2024. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Jak działa lek Kayfanda

Substancja czynna leku Kayfanda, odewiksybat, blokuje działanie białka znanego jako transporter kwasów żółciowych w jelicie krętym (ang. *ileal bile acid transporter*, IBAT), które pomaga transportować kwas żółciowy z jelit z powrotem do krwi i wątroby. Blokując IBAT, odewiksybat ułatwia usuwanie kwasów żółciowych przez jelito i zmniejsza ilość kwasów żółciowych we krwi, łagodząc objawy świądu cholestatycznego.

Korzyści ze stosowania leku Kayfanda wykazane w badaniach

W badaniu głównym z udziałem 52 dzieci z zespołem Alagille’a wykazano, że lek Kayfanda zmniejsza nasilenie świądu cholestatycznego. W badaniu tym pacjentom podawano lek Kayfanda lub placebo (leczenie pozorowane). Po 24 tygodniach leczenia u dzieci otrzymujących lek Kayfanda doszło do ograniczenia drapania rano i wieczorem średnio o około 1,7, co mierzono za pomocą kwestionariusza dla opiekunów Albireo ObsRO (narzędzie, które pomaga opiekunom rejestrować nasilenie świądu, wykorzystując skalę od 0 do 4, przy czym wyższe wyniki wskazują na bardziej nasilony świąd), natomiast u dzieci otrzymujących placebo – zmniejszenie o około 0,8.

Stosowanie leku Kayfanda doprowadziło również do złagodzenia zaburzeń snu wywołanych przez świąd cholestatyczny. Po 21–24 tygodniach leczenia u dzieci, którym podawano lek Kayfanda, odnotowano zmniejszenie o około 43% w dniach, w których potrzebowały pomocy w zasypianiu, i zmniejszenie o około 47% w dniach, w których potrzebowały łagodzenia objawów przed zaśnięciem, w porównaniu ze zmniejszeniem o odpowiednio około 10% i 6% u dzieci otrzymujących placebo. Po 20 i 24 tygodniach leczenia u dzieci, którym podawano lek Kayfanda stężenie kwasów żółciowych we krwi zmniejszyło się o około 88 $\mu\text{mol/l}$ w porównaniu ze wzrostem o około 25 $\mu\text{mol/l}$ u dzieci, którym podawano placebo.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Kayfanda

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Kayfanda znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działanie niepożądane związane ze stosowaniem leku Kayfanda (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to biegunka.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Kayfanda w UE

Zespół Alagille’a jest rzadką i zagrażającą życiu chorobą. Silny i utrzymujący się świąd występuje u 45–88% osób z tą chorobą. W momencie dopuszczenia leku Kayfanda do obrotu istniały ograniczone możliwości leczenia świądu cholestatycznego związanego z zespołem Alagille’a.

Chociaż istniały pewne ograniczenia w badaniu głównym, w tym niewielka liczba pacjentów i krótki czas obserwacji, stosowanie leku Kayfanda doprowadziło do znaczącego złagodzenia objawów zespołu Alagille’a, takich jak świąd i związane z nim zaburzenia snu. Lek Kayfanda był również skuteczny w obniżaniu stężenia kwasów żółciowych we krwi, które są główną przyczyną świądu cholestatycznego.

Chociaż dane dotyczące bezpieczeństwa stosowania leku Kayfanda są ograniczone i konieczne jest uzyskanie bardziej wyczerpujących informacji, główne działania niepożądane, takie jak te dotyczące żołądka i jelit, uznaje się za możliwe do kontrolowania. Na podstawie działania leku uznaje się, że skuteczność i profil bezpieczeństwa u osób dorosłych są takie same, jak u dzieci.

Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Kayfanda przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Kayfanda dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać wyczerpujących informacji o leku Kayfanda z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Firma musi przedłożyć wyniki badania dotyczącego długoterminowego bezpieczeństwa stosowania leku Kayfanda w leczeniu świądu cholestatycznego u pacjentów w wieku od 6 miesięcy z zespołem Alagille’a. Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych informacji dotyczących bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leku Kayfanda.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Kayfanda

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Kayfanda w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Kayfanda są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Kayfanda są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Kayfanda

Dalsze informacje dotyczące leku Kayfanda znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.