

EMA/701699/2017
EMA/H/C/000943

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Kuvan

dichlorowodorek sapropteryny

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Kuvan. 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 Kuvan.

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

Co to jest produkt Kuvan i w jakim celu się go stosuje?

Kuvan jest lekiem stosowanym w leczeniu wysokiego stężenia fenyloalaniny we krwi u osób dorosłych i dzieci w każdym wieku ze schorzeniami genetycznymi – fenyloketonurią (ang. PKU) lub niedoborem tetrahydrobiopteryny (ang. BH4).

Pacjenci z tymi zaburzeniami nie są w stanie przetwarzać aminokwasu – fenyloalaniny – z białek w diecie, co powoduje nieprawidłowo wysokie stężenia aminokwasu we krwi, prowadzące do zaburzeń w obrębie układu nerwowego.

Ze względu na małą liczbę pacjentów ze schorzeniami powodującymi wysokie stężenie fenyloalaniny, te stany chorobowe uznano za rzadko występujące, a w dniu 8 czerwca 2004 r. produkt Kuvan uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Kuvan zawiera substancję czynną dichlorowodorek sapropteryny.

Jak stosować produkt Kuvan?

Kuvan jest dostępny w postaci tabletek rozpuszczalnych (100 mg) oraz w proszku (100 lub 500 mg), do rozpuszczania w wodzie, a następnie wypicia. Kuvan wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie musi rozpoczynać i nadzorować wyłącznie lekarz mający doświadczenie w leczeniu PKU lub niedoboru BH4. Ważne jest, aby podczas przyjmowania leku Kuvan dieta pacjenta cały czas była uboga w fenyloalaniny i białko, a spożycie fenyloalaniny i białka było monitorowane i dostosowywane, w celu

zapewnienia kontroli stężeń fenyloalaniny i równowagi żywieniowej. Kuvan jest przeznaczony do długotrwałego stosowania.

Dawka początkowa leku Kuvan zależy od masy ciała pacjenta. Dawkę następnie dostosowuje się w zależności od poziomu aminokwasów we krwi, w tym fenyloalaniny. Kuvan przyjmuje się codziennie z posiłkiem, o stałej porze dnia, najlepiej rano. U niektórych pacjentów z niedoborem BH4 w celu uzyskania lepszego działania niezbędne może być podzielenie dawki dobowej na dwie lub trzy dawki stosowane w ciągu doby.

Satysfakcjonującą odpowiedź na leczenie określa się jako zmniejszenie stężenia fenyloalaniny we krwi o co najmniej 30% lub do poziomu ustalonego przez lekarza. Jeśli po miesiącu leczenia udaje się osiągnąć ten cel, odpowiedź na leczenie jest uznawana za odpowiednią i pacjent może nadal przyjmować produkt Kuvan.

Jak działa produkt Kuvan?

Wysokie stężenie fenyloalaniny we krwi jest wywołane zaburzonym rozkładaniem fenyloalaniny za pośrednictwem enzymu o nazwie hydroksylaza fenyloalaniny. Pacjenci z PKU mają wadliwą postać enzymu, a pacjenci z niedoborem BH4 mają niskie stężenie BH4 – kofaktora, który jest potrzebny do prawidłowego działania tego enzymu.

Substancja czynna produktu Kuvan, dichlorowodorek sapropteryny, jest syntetyczną wersją BH4. W PKU działa on poprzez zwiększanie aktywności wadliwego enzymu, natomiast w niedoborze BH4 zastępuje brakujący kofaktor. Działania te pomagają przywrócić zdolność enzymu do przekształcania fenyloalaniny w tyrozynę, zmniejszając stężenie fenyloalaniny we krwi.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Kuvan zaobserwowano w badaniach?

Co się tyczy leczenia PKU, w badaniu głównym porównano obniżenie stężenia fenyloalaniny we krwi u 88 pacjentów, którzy otrzymywali produkt Kuvan lub placebo (leczenie pozorowane). W dwóch innych badaniach z udziałem 101 pacjentów analizowano skuteczność produktu Kuvan w utrzymywaniu docelowych stężeń fenyloalaniny u pacjentów spożywających żywność zawierającą fenyloalaninę (tj. tolerancja fenyloalaniny).

Produkt Kuvan był skuteczniejszy od placebo w obniżaniu stężenia fenyloalaniny we krwi u pacjentów z PKU: po 6 tygodniach stężenie fenyloalaniny obniżyło się o 236 mikromoli na litr u pacjentów przyjmujących produkt Kuvan, a u pacjentów otrzymujących placebo wzrosło o 3 mikromole na litr. Ponadto produkt Kuvan umożliwił pacjentom z PKU niestosującym ograniczenia diety zwiększenie dobowego spożycia fenyloalaniny o 17,5 mg na kg masy ciała po 10 tygodniach, w porównaniu z 3,3 mg/kg w przypadku placebo. Porównanie produktu Kuvan połączonego z ograniczeniem diety z samym ograniczeniem diety wykazało, że średnie dobowe spożycie fenyloalaniny tolerowane po 26 tygodniach wyniosło 81 mg/kg w grupie przyjmującej produkt Kuvan i 50 mg/kg w grupie stosującej samo ograniczenie diety.

W odniesieniu do leczenia niedoboru BH4, który jest bardzo rzadkim schorzeniem, firma przedstawiła zaczerpnięte z opublikowanej literatury wyniki trzech badań, w których pacjentów leczono sapropteryną średnio przez 15,5 miesiąca. W badaniach tych u pacjentów wykazano poprawę w stężeniu fenyloalaniny i innych markerów choroby we krwi pacjentów przyjmujących lek.

W badaniach produktu Kuvan uczestniczyły osoby dorosłe i dzieci we wszystkich grupach wiekowych.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Kuvan?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Kuvan (obserwowane u więcej niż 1 pacjenta na 10) to: bóle głowy i nieżyt nosa (katar).

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

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Kuvan?

Agencja uznała, że korzyści płynące ze stosowania produktu Kuvan przewyższają ryzyko, i zaleciła przyznanie pozwolenia na dopuszczenie leku do obrotu.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Kuvan?

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Kuvan w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Inne informacje dotyczące produktu Kuvan

W dniu 2 grudnia 2008 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Kuvan do obrotu, ważne w całej Unii Europejskiej.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych, dotyczącej produktu Kuvan znajduje się na stronie internetowej Agencji: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Kuvan znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Kuvan należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 07.2017.