



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumo do EPAR destinado ao público

Kanuma

sebelipase alfa

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Kanuma. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Kanuma.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Kanuma, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

O que é o Kanuma e para que é utilizado?

O Kanuma é um medicamento utilizado no tratamento de doentes de todas as idades com deficiência de lipase ácida lisossomal. Esta é uma doença hereditária causada pela falta de uma enzima chamada lipase ácida lisossomal, a qual é necessária para decompor as gorduras no interior das células. Quando a enzima está ausente ou presente apenas em níveis baixos, as gorduras acumulam-se nas células do organismo e provocam sintomas como falha no crescimento e lesões hepáticas.

Dado o número de doentes com deficiência de lipase ácida lisossomal ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Kanuma foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) a 17 de dezembro de 2010.

O Kanuma contém a substância ativa sebelipase alfa.

Como se utiliza o Kanuma?

O tratamento com o Kanuma deve ser supervisionado por um médico com experiência no tratamento da deficiência de lipase ácida lisossomal, outras doenças metabólicas ou doenças hepáticas. O tratamento deve ser administrado por um profissional de saúde com a formação adequada que possa controlar emergências médicas (como uma alergia grave). O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica.



O Kanuma está disponível na forma de concentrado a ser reconstituído numa solução para perfusão (administração gota a gota) numa veia. A dose recomendada é de 1 mg por quilograma de peso corporal, administrado uma vez de duas em duas semanas. A perfusão deve ter a duração de 1 a 2 horas.

Nos doentes com uma doença rapidamente progressiva antes dos 6 meses de idade, uma dose de 1 mg/kg é administrada uma vez por semana ao invés de uma vez de duas em duas semanas; nestes doentes, a dose pode ser aumentada para 3 mg/kg uma vez por semana com base na resposta ao tratamento.

O Kanuma deve ser iniciado logo que possível após o diagnóstico e destina-se a um uso de longa duração.

Como funciona o Kanuma?

A substância ativa do Kanuma, a sebelipase alfa, é uma cópia da enzima em falta nos doentes com deficiência de lipase ácida lisossomal. A sebelipase alfa substitui a enzima em falta, ajudando na decomposição das gorduras e impedindo que se acumulem no organismo.

Quais os benefícios demonstrados pelo Kanuma durante os estudos?

O Kanuma foi analisado em 2 estudos principais em doentes com deficiência de lipase ácida lisossomal. O primeiro estudo incluiu 9 lactentes com falha no crescimento ou outras evidências de doença rapidamente progressiva nos 6 primeiros meses de vida. O estudo demonstrou que 6 de um total de 9 lactentes que receberam o Kanuma sobreviviam à idade de 1 ano. Também se observaram melhorias do crescimento em todos os 6 lactentes sobreviventes.

O segundo estudo incluiu 66 doentes (crianças e adultos) e comparou o Kanuma com um placebo (tratamento simulado). O principal parâmetro de eficácia foi a percentagem de doentes que alcançaram níveis normais de uma enzima hepática chamada ALT ao fim de 5 meses de tratamento. Níveis altos das enzimas ALT constituem um sinal de lesão hepática. Neste estudo, 31 % dos doentes que receberam o Kanuma (11 e 36) alcançaram níveis normais de enzimas ALT, em comparação com 7 % dos doentes que receberam o placebo (2 em 30).

Quais são os riscos associados ao Kanuma?

Os efeitos secundários mais graves associados ao Kanuma (observados em cerca de 3 doentes em cada 100) são sinais e sintomas de reações alérgicas graves. Estes incluem desconforto no peito, olhos vermelhos, inchaço das pálpebras, dificuldades respiratórias, erupção cutânea pruriginosa, urticária, rubor, corrimento nasal, batimentos cardíacos rápidos e respiração rápida. Foi também notificado, sobretudo em lactentes, o desenvolvimento de anticorpos contra o medicamento. Se isto acontecer, o Kanuma poderá não funcionar corretamente. Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente ao Kanuma, consulte o Folheto Informativo.

O uso do Kanuma é contraindicado em doentes com uma reação alérgica potencialmente fatal à substância ativa que ocorre novamente após a paragem e o novo início do tratamento. O uso do medicamento é também contraindicado em doentes com alergia potencialmente fatal a ovos ou a qualquer um dos componentes do Kanuma.

Por que foi aprovado o Kanuma?

O Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da Agência concluiu que os benefícios do Kanuma são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE. O Comité

constatou a ausência de quaisquer tratamentos eficazes para a deficiência de lipase ácida lisossomal e a elevada taxa de mortalidade em lactentes com doença rapidamente progressiva. O CHMP considerou que o Kanuma levou a melhorias significativas da sobrevivência em lactentes, tendo sido eficaz na melhoria dos sintomas da doença em doentes de todas as idades. Em termos de segurança, não foram identificados problemas significativos e os efeitos secundários graves foram raros ou controláveis. Contudo, são necessários dados adicionais sobre os benefícios e a segurança do medicamento a longo prazo.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Kanuma?

Foi desenvolvido um plano de gestão dos riscos para garantir a utilização segura do Kanuma. Com base neste plano, foram incluídas informações de segurança no Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo do Kanuma, incluindo as precauções apropriadas a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes.

Além disso, a empresa que comercializa o Kanuma está a realizar um estudo em lactentes com doença rapidamente progressiva e irá criar um registo de doentes de todas as idades para obter informações adicionais sobre os benefícios e a segurança do Kanuma a longo prazo, em particular no que se refere ao risco de reações alérgicas e ao desenvolvimento de anticorpos contra o medicamento. A empresa também fornecerá material informativo a todos os médicos que poderão prescrever o Kanuma, incentivando-os a inscrever doentes no registo e informando-os sobre como monitorizar os anticorpos nos doentes e como gerir doentes que desenvolvem reações alérgicas graves.

Podem ser encontradas informações adicionais no [resumo do plano de gestão dos riscos](#)

Outras informações sobre o Kanuma

O EPAR completo e o resumo do plano de gestão dos riscos relativos ao Kanuma podem ser consultados no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mais informações sobre o tratamento com o Kanuma, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Kanuma pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.