



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (*odevixibat*)

Um resumo sobre Kayfanda e por que está autorizado na UE

O que é Kayfanda e para que é utilizado?

Kayfanda é um medicamento utilizado para o tratamento do prurido colestático (comichão intensa devido à acumulação de bÍlis) causado pela síndrome de Alagille em doentes com idade igual ou superior a 6 meses.

A síndrome de Alagille é uma doença hereditária na qual a bÍlis (um fluido produzido no fÍgado que ajuda a decompor as gorduras) não consegue drenar adequadamente do fÍgado, resultando numa acumulação de ácido biliar no fÍgado e no sangue. Um dos sintomas desta acumulação é o prurido colestático.

Kayfanda contém a substância ativa odevixibat.

Como se utiliza Kayfanda?

O Kayfanda só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento da síndrome de Alagille.

Kayfanda está disponível na forma de cápsulas a tomar por via oral ou, em alternativa, a cápsula pode ser aberta e o seu conteúdo polvilhado sobre os alimentos ou os líquidos, uma vez por dia. A dose depende do peso corporal do doente.

Se o tratamento causar diarreia grave com duração superior a três dias, ou se forem necessários fluidos intravenosos (IV) para tratar a desidratação causada pela diarreia, a dose de Kayfanda pode ser reduzida. Se este resolver, a dose pode ser aumentada.

Para mais informações sobre a utilização de Kayfanda, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Kayfanda?

A substância ativa de Kayfanda, o odevixibat, bloqueia a ação de uma proteína conhecida como transportador dos ácidos biliares ileais (IBAT) que ajuda a transportar o ácido biliar do intestino de volta para o sangue e o fÍgado. Ao bloquear o IBAT, o odevixibat facilita a remoção do ácido biliar

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



através do intestino e reduz a quantidade de ácido biliar no sangue, aliviando os sintomas do prurido colestático.

Quais os benefícios demonstrados por Kayfanda durante os estudos?

Kayfanda demonstrou reduzir o prurido colestático num estudo principal que incluiu 52 crianças com síndrome de Alagille. Neste estudo, os doentes foram tratados com Kayfanda ou com um placebo (tratamento simulado). Após 24 semanas de tratamento, as crianças que receberam Kayfanda apresentaram, em média, uma redução de cerca de 1,7 de manhã e à noite, tal como medido pelo questionário Albireo ObsRO aos prestadores de cuidados (um instrumento que ajuda os prestadores de cuidados a registar a gravidade da comichão, utilizando uma escala de 0 a 4, com resultados mais elevados a indicar comichão mais grave), enquanto as crianças que receberam o placebo apresentaram, em média, uma redução de cerca de 0,8.

O tratamento com Kayfanda também resultou numa melhoria das perturbações do sono causadas pelo prurido colestático. Após 21 a 24 semanas de tratamento, as crianças que receberam Kayfanda apresentaram uma redução de cerca de 43 % nos dias que necessitavam de ajuda a adormecer e uma redução de cerca de 47 % nos dias que necessitavam de calota para adormecer, em comparação com uma redução de cerca de 10 % e 6 % nas crianças tratadas com placebo, respetivamente. Após 20 e 24 semanas de tratamento, as crianças que receberam Kayfanda apresentaram uma redução dos níveis dos ácidos biliares no sangue de cerca de 88 $\mu\text{mol/l}$, em comparação com um aumento de cerca de 25 $\mu\text{mol/l}$ nas crianças que receberam o placebo.

Quais são os riscos associados a Kayfanda?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Kayfanda, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Kayfanda (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são diarreia.

Por que está Kayfanda autorizado na UE?

A síndrome de Alagille é uma doença rara e potencialmente fatal. A comichão grave e persistente afeta entre 45 % e 88 % das pessoas com esta síndrome. No momento da aprovação de Kayfanda, as opções de tratamento do prurido colestático associado à síndrome de Alagille eram limitadas.

Apesar de se terem verificado algumas limitações com o estudo principal, incluindo o pequeno número de doentes e a curta duração do seguimento dos doentes no estudo, o tratamento com Kayfanda conduziu a melhorias significativas nos sintomas da síndrome de Alagille, tais como comichão e perturbações do sono associadas. Kayfanda foi também eficaz na redução dos níveis sanguíneos de ácidos biliares, que é a principal causa do prurido colestático.

Apesar de os dados sobre a segurança de Kayfanda serem limitados e de ser necessário recolher mais informações, os principais efeitos secundários, tais como os que afetam o estômago e os intestinos, são considerados controláveis. Com base no modo de funcionamento do medicamento, considera-se que o perfil de eficácia e segurança em adultos é o mesmo que em crianças.

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Kayfanda são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Kayfanda foi autorizado em «circunstâncias excecionais». Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre Kayfanda devido à raridade da doença. A empresa deve apresentar os

resultados de um estudo sobre a segurança a longo prazo de Kayfanda para o tratamento do prurido colestático em doentes com idade igual ou superior a 6 meses com síndrome de Alagille. A Agência Europeia de Medicamentos procederá, anualmente, à revisão de todas as novas informações relativas à segurança e eficácia de Kayfanda.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Kayfanda?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Kayfanda.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Kayfanda são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Kayfanda são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Kayfanda

Estão disponíveis mais informações sobre Kayfanda no sítio Web da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.