



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/551813/2015  
EMA/H/C/004004

## Rezumat EPAR destinat publicului

---

# Kanuma

## sebelipase alfa

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Kanuma. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Kanuma.

Pentru informații practice privind utilizarea Kanuma, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

### **Ce este Kanuma și pentru ce se utilizează?**

Kanuma este un medicament utilizat pentru tratamentul pacienților de toate vârstele cu deficiență a lipazei acide lizozomale. Aceasta este o boală ereditară cauzată de lipsa unei enzime numite lipază acidă lizozomală, care este necesară pentru descompunerea grăsimilor din celule. Când enzima lipsește sau este prezentă numai în niveluri scăzute, în celulele organismului se acumulează grăsimi care provoacă simptome cum ar fi deficit de creștere și leziuni ale ficatului.

Din cauza numărului mic de pacienți cu deficiență a lipazei acide lizozomale, boala este considerată „rară”, iar Kanuma a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 17 decembrie 2010.

Kanuma conține substanța activă sebelipase alfa.

### **Cum se utilizează Kanuma?**

Tratamentul cu Kanuma trebuie supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul deficienței lipazei acide lizozomale, al altor boli metabolice sau al bolilor hepatice. Tratamentul trebuie administrat de un profesionist din domeniul sănătății care poate gestiona urgențele medicale (cum ar fi alergiya severă). Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă.



Kanuma este disponibil sub formă de concentrat pentru soluție perfuzabilă (picurare în venă). Doza recomandată de Kanuma este de 1 mg pe kilogram de greutate corporală și se administrează o dată la două săptămâni. Perfuzia trebuie administrată în decurs de aproximativ 1 până la 2 ore.

La pacienții care prezintă progresie rapidă a bolii înainte de vârsta de 6 luni, în locul dozei administrate o dată la două săptămâni se administrează o doză de 1 mg/kg o dată pe săptămână; în funcție de răspunsul la tratament, la acești pacienți doza poate fi crescută la 3 mg/kg cu administrare o dată pe săptămână.

Tratamentul cu Kanuma trebuie început cât mai curând posibil după diagnosticare și este indicat pentru utilizare pe termen lung.

## **Cum acționează Kanuma?**

Substanța activă din Kanuma, sebelipase alfa, este o copie a enzimei care le lipsește pacienților cu deficiență de lipază acidă lizozomală. Sebelipase alfa suplinește enzima lipsă, ajutând la descompunerea grăsimilor și oprind acumularea acestora în celulele organismului.

## **Ce beneficii a prezentat Kanuma pe parcursul studiilor?**

Kanuma a fost investigat în 2 studii principale la pacienții cu deficiență de lipază acidă lizozomală. Primul studiu a cuprins 9 sugari cu deficit de creștere sau alte indicii de boală cu progresie rapidă în primele 6 luni de viață. Studiul a demonstrat că 6 din cei 9 sugari cărora li s-a administrat Kanuma au supraviețuit până la vârsta de 1 an. De asemenea, au fost observate ameliorări ale creșterii la toți cei 6 sugari supraviețuitori.

Al doilea studiu a cuprins 66 de pacienți (copii și adulți) și a comparat Kanuma cu placebo (un preparat inactiv). Principalul indicator al eficacității a fost proporția pacienților la care s-a obținut normalizarea nivelurilor enzimei hepatice numite ALT după 5 luni de tratament. Nivelurile crescute ale enzimelor ALT sunt un semn al existenței leziunilor hepatice. În acest studiu, la 31 % din pacienții cărora li s-a administrat Kanuma (11 din 36) nivelurile enzimelor ALT s-au normalizat, în comparație cu 7 % din pacienții cărora li s-a administrat placebo (2 din 30).

## **Care sunt riscurile asociate cu Kanuma?**

Cele mai grave efecte secundare asociate cu Kanuma (observate la aproximativ 3 pacienți din 100) sunt semne și simptome de reacții alergice severe. Printre acestea se numără disconfortul la nivelul pieptului, ochi roșii, umflarea pleoapelor, dificultăți de respirație, erupție pe piele însoțită de mâncărime, urticarie, înroșirea feței, curgerea nasului, bătăi rapide ale inimii și respirație rapidă. De asemenea, a fost raportată dezvoltarea de anticorpi la medicament, în special la sugari. Dacă se produc anticorpi, este posibil ca Kanuma să nu acționeze în mod eficace. Pentru lista completă a efectelor secundare raportate asociate cu Kanuma, consultați prospectul.

Kanuma este contraindicat la pacienții care au avut o reacție alergică care pune în pericol viața la substanța activă, care a reapărut după oprirea și reluarea tratamentului. De asemenea, este contraindicat la pacienții cu alergii care le pune în pericol viața, provocată de ouă sau de oricare dintre celelalte ingrediente ale Kanuma.

## **De ce a fost aprobat Kanuma?**

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a hotărât că beneficiile Kanuma sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE. Comitetul a remarcat lipsa oricăror alte tratamente eficace pentru deficiența de lipază acidă lizozomală, precum și rata

crescută a mortalității la sugarii cu boală cu progresie rapidă. CHMP a considerat că Kanuma a dus la ameliorări semnificative în supraviețuirea sugarilor și a fost eficace în ameliorarea simptomelor bolii la pacienții de toate vârstele. În ceea ce privește siguranța, nu au fost identificate probleme majore, iar efectele secundare au fost rare sau gestionabile. Cu toate acestea, sunt necesare date suplimentare privind beneficiile tratamentului pe termen lung și siguranța medicamentului.

### **Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Kanuma?**

A fost elaborat un plan de management al riscurilor pentru ca Kanuma să fie utilizat în cel mai sigur mod posibil. Pe baza acestui plan, în Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru Kanuma, au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

În plus, compania care comercializează Kanuma derulează un studiu la sugarii cu progresie rapidă a bolii și va institui un registru al pacienților de toate vârstele pentru a obține informații suplimentare privind beneficiile pe termen lung și siguranța Kanuma, în special cu privire la riscul de reacții alergice și la cel de dezvoltare a anticorpilor împotriva medicamentului. De asemenea, compania va furniza materiale educaționale tuturor medicilor care se preconizează că vor prescrie Kanuma, încurajându-i să înscrie pacienții în registru și informându-i cum să monitorizeze pacienții în ceea ce privește anticorpii și cum să gestioneze pacienții care dezvoltă reacții alergice severe.

Informații suplimentare sunt disponibile în [rezumatul planului de management al riscurilor](#).

### **Alte informații despre Kanuma**

EPAR-ul complet și rezumatul planului de management al riscurilor pentru Kanuma sunt disponibile pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Kanuma, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Kanuma este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).