



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (*odevixibat*)

Prezentare generală a Kayfanda și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Kayfanda și pentru ce se utilizează?

Kayfanda este un medicament utilizat pentru tratarea pruritului colestatic (mâncărimi intense din cauza acumulării bilei) cauzat de sindromul Alagille la pacienți cu vârsta de cel puțin 6 luni.

Sindromul Alagille este o boală ereditară în care bila (un lichid produs în ficat, care ajută la descompunerea grăsimilor) nu poate fi drenată corespunzător de ficat, ducând la acumularea de acid biliar în ficat și sânge. Unul dintre simptomele acestei acumulări este pruritul colestatic.

Kayfanda conține substanța activă odevixibat.

Cum se utilizează Kayfanda?

Kayfanda se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul sindromului Alagille.

Kayfanda este disponibil sub formă de capsule cu administrare orală sau, alternativ, se poate deschide capsula, iar conținutul său poate fi presărat pe alimente sau lichide, o dată pe zi. Doza depinde de greutatea pacienților.

Dacă tratamentul cauzează diaree severă cu o durată mai mare de trei zile sau dacă sunt necesare lichide intravenoase (i.v.) pentru gestionarea terapeutică a deshidratării cauzate de diaree, doza de Kayfanda poate fi redusă. Dacă aceasta trece, atunci doza poate fi mărită.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Kayfanda, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Kayfanda?

Substanța activă din Kayfanda, odevixibatul, blochează acțiunea unei proteine numite transportor de acid biliar la nivelul ileonului (IBAT), care ajută la transportul acidului biliar din intestin înapoi în sânge și ficat. Prin blocarea IBAT, odevixibatul facilitează eliminarea acidului biliar prin intestin și reduce cantitatea de acid biliar din sânge, ameliorând simptomele pruritului colestatic.

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



Ce beneficii a prezentat Kayfanda pe parcursul studiilor?

S-a arătat că Kayfanda reduce pruritul colestatic într-un studiu principal care a cuprins 52 de copii cu sindrom Alagille. În acest studiu, pacienții au fost tratați fie cu Kayfanda, fie cu placebo (un preparat inactiv). După 24 de săptămâni de tratament, copiii care au primit Kayfanda au avut, în medie, o reducere a scărpinațului de aproximativ 1,7 dimineața și seara, măsurată prin chestionarul Albireo ObsRO al îngrijitorului (un instrument care ajută îngrijitorii să înregistreze severitatea mâncărimei, pe o scară de la 0 la 4, rezultatele mai mari indicând mâncărime mai severă), iar copiii care au primit placebo au avut, în medie, o reducere de aproximativ 0,8.

Tratamentul cu Kayfanda a dus și la ameliorarea tulburărilor de somn cauzate de pruritul colestatic. După 21-24 de săptămâni de tratament, copiii care au primit Kayfanda au avut o reducere de aproximativ 43 % a zilelor în care aveau nevoie de ajutor pentru a adormi și o reducere de aproximativ 47 % a zilelor în care aveau nevoie să fie liniștiți pentru a adormi, față de o reducere de aproximativ 10 % și, respectiv, 6 % la copiii tratați cu placebo. După 20 și 24 de săptămâni de tratament, copiii care au primit Kayfanda au avut o scădere a concentrației în sânge a acizilor biliari de aproximativ 88 $\mu\text{mol/l}$, față de o creștere de aproximativ 25 $\mu\text{mol/l}$ la copiii care au primit placebo.

Care sunt riscurile asociate cu Kayfanda?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Kayfanda, citiți prospectul.

Cea mai frecventă reacție adversă asociată cu Kayfanda (care poate afecta mai mult de 1 persoană din 10) este diareea.

De ce a fost autorizat Kayfanda în UE?

Sindromul Alagille este o afecțiune rară, care pune viața în pericol. Mâncărimea severă și persistentă afectează între 45 % și 88 % din persoanele cu acest sindrom. La momentul aprobării Kayfanda, existau opțiuni de tratament limitate pentru pruritul colestatic asociat cu sindromul Alagille.

Deși studiul principal avea anumite limitări, și anume numărul mic de pacienți și durata scurtă de urmărire a pacienților incluși în studiu, tratamentul cu Kayfanda a dus la ameliorări semnificative ale simptomelor sindromului Alagille, de exemplu mâncărimea și tulburările de somn asociate. Kayfanda a fost eficace și în reducerea concentrației în sânge a acizilor biliari, care este cauza principală a pruritului colestatic.

Deși datele privind siguranța Kayfanda sunt limitate și trebuie strânse informații suplimentare, principalele reacții adverse, cum ar fi cele care afectează stomacul și intestinul, sunt considerate gestionabile terapeutic. Pe baza modului în care acționează medicamentul, se consideră că profilul de eficacitate și siguranță la adulți este același ca cel la copii.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Kayfanda sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Kayfanda a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Kayfanda. Compania trebuie să prezinte rezultatele unui studiu privind siguranța pe termen lung a Kayfanda pentru tratamentul pruritului colestatic la pacienții cu vârsta de cel puțin 6 luni cu sindrom Alagille. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va analiza informațiile nou apărute privind siguranța și eficacitatea Kayfanda.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Kayfanda?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Kayfanda, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Kayfanda sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Kayfanda sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Kayfanda

Mai multe informații despre Kayfanda se pot găsi pe site-ul agenției:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.