

EMA/701701/2017
EMA/H/C/000943

Rezumat EPAR destinat publicului

Kuvan

diclorhidrat de sapropterină

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Kuvan. 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 Kuvan.

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

Ce este Kuvan și pentru ce se utilizează?

Kuvan este un medicament care se utilizează pentru a trata nivelul mare de fenilalanină din sânge la adulți și copii care suferă de bolile genetice fenilcetonurie (FCU) sau deficit de tetrahidrobiopterină (BH4).

Pacienții cu aceste tulburări nu pot prelucra aminoacidul fenilalanină din proteinele alimentare și, prin urmare, aminoacizii se acumulează în sânge ajungând la niveluri anormal de mari și cauzând probleme la nivelul sistemului nervos.

Din cauza numărului mic de pacienți cu afecțiuni care determină niveluri mari de fenilalanină, bolile sunt considerate rare, iar Kuvan a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 8 June 2004.

Kuvan conține substanța activă diclorhidrat de sapropterină.

Cum se utilizează Kuvan?

Kuvan este disponibil sub formă de comprimate solubile (100 mg) sau de pulbere (100 mg sau 500 mg) care se dizolvă în apă și se beau. Kuvan poate fi obținut numai pe bază de prescripție medicală și tratamentul trebuie început și supravegheat de un medic cu experiență în tratarea fenilcetonuriei și al deficitului de tetrahidrobiopterină. În timpul administrării Kuvan, este important ca pacienții să continue un regim sărac în fenilalanine și proteine, iar consumul de fenilalanină și proteine

trebuie monitorizat și ajustat pentru a asigura un control al nivelului de fenilalanină din sânge și al echilibrului nutrițional. Kuvan este destinat administrării pe termen lung.

Doza inițială de Kuvan depinde de greutatea pacientului. Doza este ajustată ulterior, în funcție de nivelul de amionoacizi din sânge, inclusiv al fenilalaninei. Kuvan se administrează în timpul mesei la aceeași oră în fiecare zi, preferabil dimineața. Pentru unii pacienți cu deficit de BH4, poate fi necesară divizarea dozei în două sau trei prize pe parcursul zilei, pentru un efect optim.

Răspunsul satisfăcător este definit ca o reducere a nivelului de fenilalanină din sânge cu cel puțin 30% sau până la un nivel stabilit de medic. Dacă s-a obținut acest lucru după o lună, se consideră că pacientul „a răspuns la tratament” și poate continua tratamentul cu Kuvan.

Cum acționează Kuvan?

Nivelul crescut de fenilalanină în sânge se datorează unei dificultăți de descompunere a fenilalaninei sub influența unei enzime numite „fenilalanină hidroxilază”. Pacienții cu FCU au versiuni nefuncționale ale enzimei, iar pacienții cu deficit de BH4 au valori scăzute ale BH4, un „cofactor” de care are nevoie această enzimă pentru a funcționa corect.

Substanța activă din Kuvan, diclorhidratul de sapropterină, este o versiune artificială a BH4. În FCU, aceasta funcționează prin îmbunătățirea activității enzimei disfuncționale, iar în deficitul de BH4 funcționează prin substituirea cofactorului lipsă. Aceste procese ajută la restabilirea capacității enzimei de a converti fenilalanina în tirozină, reducând astfel nivelul de fenilalanină din sânge.

Ce beneficii a prezentat Kuvan pe parcursul studiilor?

În tratarea FCU, un studiu principal a comparat reducerea nivelului de fenilalanină din sânge la 88 de pacienți tratați cu Kuvan sau cu placebo (un preparat inactiv). Alte două studii, efectuate la 101 pacienți, au analizat eficacitatea Kuvan în ceea ce privește consumul permis de alimente cu conținut de fenilalanină, menținând în același timp nivelul de fenilalanină din sânge la un nivel țintă (toleranța la fenilalanină).

Kuvan a fost mai eficace decât placebo în reducerea nivelului de fenilalanină din sânge la pacienții cu FCU, determinând o reducere de 236 micromoli per litru după 6 săptămâni față de o creștere de 3 micromoli per litru cu placebo. În plus, Kuvan a permis pacienților cu FCU care nu aveau restricții alimentare să crească absorbția zilnică de fenilalanină cu 17,5 mg per kg de greutate corporală după 10 săptămâni față de 3,3 mg/kg cu placebo. Comparând Kuvan asociat cu restricții alimentare și restricția alimentară singură, absorbția zilnică medie de fenilalanină care a fost tolerată după 26 de săptămâni a fost de 81 mg/kg în grupul Kuvan și de 50 mg/kg în grupul care avea doar restricții alimentare.

Pentru tratamentul deficitului de BH4, care este o afecțiune foarte rară, compania a prezentat rezultatele a trei studii din literatura de specialitate publicată, în care unii pacienți au fost tratați cu sapropterină, o perioadă medie de 15,5 luni. În aceste studii, pacienții au prezentat o ameliorare a nivelului de fenilalanină din sânge și a altor indicatori de boală atunci când luau acest medicament.

Studiile cu Kuvan au cuprins adulți și copii de toate vârstele.

Care sunt riscurile asociate cu Kuvan?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Kuvan (observate la mai mult de 1 pacient din 10) sunt durerile de cap și rinoreea (secreții nazale abundente).

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

De ce a fost aprobat Kuvan?

CHMP a hotărât că beneficiile Kuvan sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de punere pe piață pentru acest produs.

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

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

Alte informații despre Kuvan

Comisia Europeană a acordat o autorizație de punere pe piață pentru Kuvan, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 2 decembrie 2008.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Kuvan este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

EPAR-ul complet pentru Kuvan este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Kuvan, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 07-2017.