



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Kanuma

sebelipáza alfa

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Kanuma. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Kanuma.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Kanuma, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľov alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je liek Kanuma a na čo sa používa?

Liek Kanuma sa používa na liečbu pacientov každého veku s deficitom lyzozómovej kyslej lipázy. Ide o dedičné ochorenie spôsobené nedostatkom enzýmu nazývaného lyzozómová kyslá lipáza, ktorý je potrebný na rozkladanie tukov v bunkách. Keď tento enzým nie je prítomný alebo je prítomný v malom množstve, tuky sa hromadia v bunkách tela, čo spôsobuje príznaky ako zlyhanie rastu a poškodenie pečene.

Kedže je počet pacientov s deficitom lyzozómovej kyslej lipázy nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Kanuma dňa 17. decembra 2010 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Liek Kanuma obsahuje účinnú látku sebelipáza alfa.

Ako sa liek Kanuma používa?

Na liečbu liekom Kanuma má dohliadať lekár so skúsenosťami s liečbou deficitu lyzozómovej kyslej lipázy, iných metabolických ochorení alebo ochorení pečene. Liek má podávať vyškolený zdravotnícky pracovník, ktorý dokáže zvládať núdzové lekárske stavy (napríklad závažnú alergiu). Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.



Liek Kanuma je dostupný vo forme koncentrátu, z ktorého sa pripravuje infúzny roztok (na kvapkanie do žily). Odporúčaná dávka je 1 mg na kilogram telesnej hmotnosti podávaná raz za dva týždne. Infúzia má trvať približne 1 až 2 hodiny.

U pacientov s rýchlo postupujúcim ochorením pred šiestym mesiacom veku sa podáva dávka 1 mg/kg raz týždenne namiesto raz za dva týždne. U týchto pacientov možno v závislosti od odpovede na liečbu zvýšiť dávku na 3 mg/kg raz týždenne.

Liečba liekom Kanuma sa má začať čo najskôr po diagnóze a liek je určený na dlhodobé používanie.

Akým spôsobom liek Kanuma účinkuje?

Účinná látka lieku Kanuma, sebelipáza alfa, je kópiou enzýmu, ktorý chýba pacientom s deficitom lyzozómovej kyslej lipázy. Sebelipáza alfa nahrádza chýbajúci enzým, čím pomáha rozkladať tuky a zabraňuje ich hromadeniu v bunkách tela.

Aké prínosy lieku Kanuma boli preukázané v štúdiách?

Liek Kanuma sa skúmal v 2 hlavných štúdiách u pacientov s deficitom lyzozómovej kyslej lipázy. Prvá štúdia zahŕňala 9 dojčiat so zlyhaním rastu alebo iným dôkazom rýchlo postupujúceho ochorenia v prvých 6 mesiacoch života. V štúdii sa preukázalo, že 6 z 9 dojčiat, ktoré dostávali liek Kanuma, prežilo do veku 1 roka. U všetkých 6 dojčiat, ktoré prežili, sa pozorovali aj zlepšenia rastu.

Druhá štúdia zahŕňala 66 pacientov (detí a dospelých) a liek Kanuma sa v nej porovnával s placebom (zdanlivým liekom). Hlavnou mierou účinnosti bol podiel pacientov, ktorí po 5 mesiacoch liečby dosiahli normálne hladiny pečeňového enzýmu nazývaného ALT. Vysoké hladiny enzýmov ALT sú prejavom poškodenia pečene. V tejto štúdii 31 % pacientov, ktorí dostávali liek Kanuma (11 z 36), dosiahlo normálne hladiny enzýmov ALT v porovnaní so 7 % pacientov, ktorí dostávali placebo (2 z 30).

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Kanuma?

Najzávažnejšie vedľajšie účinky lieku Kanuma (pozorované u približne 3 pacientov zo 100) sú prejavy a príznaky závažných alergických reakcií. Patria medzi ne nepríjemný pocit v hrudníku, červené oči, opuch očných viečok, ťažkosti s dýchaním, svrbivá vyrážka, žihľavka, návaly horúčavy, výtok z nosa, rýchly srdcový tep a rýchle dýchanie. Najmä u dojčiat bola hlásená aj tvorba protilátok proti lieku. Ak sa vytvoria protilátky, liek Kanuma nemôže účinne pôsobiť. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Kanuma sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Kanuma sa nesmie používať u pacientov, ktorí mali život ohrozujúcu alergickú reakciu na účinnú látku, ktorá sa znova vyskytla po zastavení a obnovení liečby. Nesmie sa používať ani u pacientov so život ohrozujúcou alergiou na vajcia alebo ktorúkoľvek zo zložiek lieku Kanuma.

Prečo bol liek Kanuma povolený?

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry rozhodol, že prínosy lieku Kanuma sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním, a odporučil udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ. Výbor vzal na vedomie nedostatok účinnej liečby deficitu lyzozómovej kyslej lipázy a vysokú úmrtnosť dojčiat s rýchlo postupujúcim ochorením. Výbor CHMP konštatoval, že liek Kanuma viedol k výraznému zlepšeniu prežívania dojčiat a účinne zlepšoval príznaky ochorenia u pacientov každého veku. Pokiaľ ide o bezpečnosť, neboli identifikované žiadne väčšie problémy a závažné vedľajšie účinky boli zriedkavé alebo zvládnuteľné. Sú však potrebné ďalšie údaje o dlhodobých prínosoch a bezpečnosti lieku.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Kanuma?

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania lieku Kanuma bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté informácie o bezpečnosti lieku Kanuma vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Kanuma na trh, navyše vykonáva štúdiu u dojčiat s rýchlo postupujúcim ochorením a vytvorí register pacientov každého veku na získanie ďalších informácií o dlhodobých prínosoch a bezpečnosti lieku Kanuma, a to najmä v súvislosti s rizikom alergických reakcií a tvorbou protilátok proti lieku. Spoločnosť poskytne aj vzdelávací materiál pre všetkých lekárov, u ktorých sa očakáva, že budú liek Kanuma predpisovať, pričom ich bude nabádať, aby zaraďovali pacientov do registra, a bude im poskytovať informácie o tom, ako monitorovať u pacientov protilátky a ako liečiť pacientov, u ktorých sa rozvinú závažné alergické reakcie.

Viac informácií sa nachádza v [súhrne plánu riadenia rizík](#).

Ďalšie informácie o lieku Kanuma

Úplné znenie správy EPAR o lieku Kanuma a súhrn plánu riadenia rizík sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Kanuma, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Kanuma sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).