



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (*odevixibat*)

Prehľad o lieku Kayfanda a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Kayfanda a na čo sa používa?

Liek Kayfanda sa používa na liečbu cholestatického pruritu (intenzívneho svrbenia v dôsledku hromadenia žlče) pri Alagillovom syndróme u pacientov vo veku od 6 mesiacov.

Alagillov syndróm je dedičné ochorenie, pri ktorom žlč (tekutina vznikajúca v pečeni, ktorá pomáha rozkladať tuky) nemôže riadne odtekať z pečene, čo vedie k hromadeniu žlčových kyselín v pečeni a krvi. Jedným z príznakov tohto hromadenia je cholestatický pruritus.

Liek Kayfanda obsahuje liečivo odevixibat.

Ako sa liek Kayfanda používa?

Výdaj lieku Kayfanda je viazaný na lekársky predpis a liečbu týmto liekom musí začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou Alagillovho syndrómu.

Liek Kayfanda je k dispozícii vo forme kapsúl, ktoré sa užívajú raz denne, buď cez ústa alebo sa môžu otvoriť a ich obsah nasypať na jedlo alebo do nápoja. Dávka závisí od telesnej hmotnosti pacienta.

Ak liečba spôsobuje závažnú hnačku, ktorá trvá dlhšie ako tri dni, alebo ak si doplnenie tekutín na zvládnutie dehydratácie spôsobenej hnačkou vyžaduje intravenózne (IV) podávanie tekutín, dávka lieku Kayfanda sa môže znížiť. Po zlepšení sa dávka môže zvýšiť.

Viac informácií o používaní lieku Kayfanda si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Kayfanda účinkuje?

Liečivo lieku Kayfanda, odevixibat, blokuje pôsobenie proteínu známeho ako ileálny transportér žlčovej kyseliny (IBAT), ktorý pomáha prenášať žlčovú kyselinu z čreva späť do krvi a pečene. Odevixibat blokuje proteín IBAT, čím umožňuje vylúčenie žlčovej kyseliny cez črevo a znižuje množstvo žlčovej kyseliny v krvi, čo vedie k zmierneniu príznakov cholestatického pruritu.



Aké prínosy lieku Kayfanda boli preukázané v štúdiách?

V hlavnej štúdii zahŕňajúcej 52 detí s Alagillovým syndrómom sa preukázalo, že liek Kayfanda znižuje cholestatický pruritus. V tejto štúdii boli pacienti liečení buď liekom Kayfanda alebo placebom (zdanlivým liekom). U detí liečených liekom Kayfanda sa po 24 týždňoch liečby zaznamenalo priemerné zníženie škrabania ráno a večer približne o 1,7 bodu na základe dotazníka vyplneného opatrovateľom podľa Albireo ObsRO (nástroja, ktorý opatrovateľovi pomáha zaznamenať závažnosť svrbenia na stupnici od 0 do 4, pričom vyššie hodnoty znamenajú závažnejšie svrbenie), zatiaľ čo u detí, ktorým dostávali placebo, sa zaznamenalo zníženie priemerne o 0,8.

Liečba liekom Kayfanda viedla aj k zlepšeniu porúch spánku v dôsledku cholestatického pruritu. U detí liečených liekom Kayfanda sa po 21 až 24 týždňoch liečby zaznamenalo zníženie počtu dní, keď potrebovali pomoc pri zaspávaní, približne o 43 % a počtu dní, keď potrebovali utíšenie, aby zaspali, o 47 % v porovnaní so znížením približne o 10 %, resp. o 6 % u detí liečených placebom. U detí, ktorým sa podával liek Kayfanda, došlo po 20 a 24 týždňoch liečby k zníženiu hladiny žlčových kyselín v krvi približne o 88 $\mu\text{mol/l}$ v porovnaní so zvýšením približne o 25 $\mu\text{mol/l}$ u detí, ktorým sa podávalo placebo.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Kayfanda?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Kayfanda a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejší vedľajší účinok lieku Kayfanda (ktorý môže postihnúť viac ako 1 osobu z 10) je hnačka.

Prečo bol liek Kayfanda povolený v EÚ?

Alagillov syndróm je zriedkavé a život ohrozujúce ochorenie. Závažné a pretrvávajúce svrbenie postihuje 45 % až 88 % osôb s týmto syndrómom. V čase povolenia lieku Kayfanda boli k dispozícii obmedzené možnosti liečby cholestatického pruritu súvisiaceho s Alagillovým syndrómom.

Aj keď sa v hlavnej štúdii vyskytli určité obmedzenia vrátane malého počtu pacientov a krátkeho trvania sledovania pacientov v štúdii, liečba liekom Kayfanda viedla k významnému zlepšeniu príznakov Alagillovho syndrómu, ako je svrbenie a súvisiace poruchy spánku. Liek Kayfanda bol takisto účinný pri znižovaní hladiny žlčových kyselín v krvi, čo je hlavnou príčinou cholestatického pruritu.

Aj keď sú údaje o bezpečnosti lieku Kayfanda obmedzené a je potrebné zhromaždiť ďalšie informácie, hlavné vedľajšie účinky, napríklad účinky postihujúce žalúdok a črevá, sa považujú za zvládnuteľné. Na základe účinku lieku sa predpokladá, že účinnosť a bezpečnostný profil u dospelých sú rovnaké ako u detí.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Kayfanda sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Liek Kayfanda bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Kayfanda. Spoločnosť musí predložiť výsledky štúdie o dlhodobej bezpečnosti lieku Kayfanda na liečbu cholestatického pruritu u pacientov od veku 6 mesiacov s Alagillovým syndrómom. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové informácie týkajúce sa bezpečnosti a účinnosti lieku Kayfanda.

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

Na bezpečné a účinné používanie lieku Kayfanda boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotníci pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Kayfanda sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Kayfanda sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Kayfanda

Ďalšie informácie o lieku Kayfanda sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.