



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/551815/2015
EMA/H/C/004004

Povzetek EPAR za javnost

Kanuma

sebelipaza alfa

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Kanuma. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Kanuma naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Kanuma in za kaj se uporablja?

Kanuma je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje bolnikov vseh starosti s pomanjkanjem lizosomnega encima kisle lipaze. To je dedna bolezen, ki jo povzroča pomanjkanje encima, imenovanega lizosomni encim kisle lipaze, ki je potreben za razgradnjo maščob v celicah. Če je ta encim odsoten ali je njegova raven zelo nizka, se maščobe kopičijo v celicah, kar povzroča simptome, kot sta upočasnjena rast in poškodba jeter.

Ker je bolnikov s pomanjkanjem lizosomnega encima kisle lipaze malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Kanuma 17. decembra 2010 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Zdravilo Kanuma vsebuje zdravilno učinkovino sebelipaza alfa.

Kako se zdravilo Kanuma uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Kanuma mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem pomanjkanja lizosomnega encima kisle lipaze, drugih presnovnih bolezni ali jetrnih bolezni. Zdravljenje mora izvajati usposobljen zdravstveni delavec, ki obvlada zdravljenje v nujnih primerih (kot je huda alergija). Izdaja zdravila je le na recept.



Zdravilo Kanuma je na voljo v obliki koncentrata za pripravo raztopine za infundiranje (vbrizganje) v veno. Priporočeni odmerek zdravila Kanuma je 1 mg na kilogram telesne mase, daje pa se enkrat na dva tedna. Infundiranje traja od 1 do 2 ur.

Bolnikom s hitro napredujočo boleznijo pred 6 mesecem starosti se daje odmerek 1 mg/kg enkrat na teden namesto vsak drugi teden. Pri teh bolnikih je mogoče odmerek povečati na 3 mg/kg enkrat na teden, kar je odvisno od odziva na zdravljenje.

Zdravilo Kanuma je treba uvesti čim prej po diagnozi in je namenjeno dolgotrajni uporabi.

Kako zdravilo Kanuma deluje?

Zdravilna učinkovina v zdravilu Kanuma, sebelipaza alfa, je kopija encima, ki ga pri bolnikih s pomanjkanjem lizosomnega encima kisle lipaze primanjkuje. Sebelipaza alfa nadomesti manjkajoči encim, kar pomaga razgraditi maščobe in zaustavi njihovo kopičenje v celicah.

Kakšne koristi je zdravilo Kanuma izkazalo v študijah?

Zdravilo Kanuma so proučevali v 2 glavnih študijah pri bolnikih s pomanjkanjem lizosomnega encima kisle lipaze. Prva študija je vključila 9 dojenčkov s poslabšano rastjo ali drugim dokazom hitro napredujoče bolezni v prvih 6 mesecih življenja. V študiji so pokazali, da je 6 od 9 dojenčkov, ki so prejeli zdravilo Kanuma, preživel do 1 leta starosti. Pri vseh 6 preživelih dojenčkih so prav tako opazili izboljšanje rasti.

V drugi študiji, ki je vključila 66 bolnikov (otrok in odraslih), so zdravilo Kanuma primerjali s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bil delež bolnikov, ki so dosegli normalne ravni jetrnega encima, imenovanega ALT, po 5 mesecih zdravljenja. Visoke ravni encima ALT so znak jetrne poškodbe. V tej študiji je 31 % bolnikov, zdravljenih z zdravilom Kanuma (11 od 36), doseglo normalne ravni encima ALT v primerjavi s 7 % bolnikov, ki so prejeli placebo (2 od 30).

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Kanuma?

Najresnejši neželeni učinki zdravila Kanuma (ki so jih opazili pri približno 3 bolnikih od 100) so znaki in simptomi hudih alergijskih reakcij. Ti vključujejo neugodje v prsnem košu, rdeče oči, otekanje vek, težave pri dihanju, srbeč izpuščaj, koprivnico, zardevanje, izcedek iz nosu, hiter srčni utrip in hitro dihanje. Prav tako so poročali o razvoju protiteles proti temu zdravilu, predvsem pri dojenčkih. Če pride do razvoja protiteles, zdravilo Kanuma morda ne bo učinkovito. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Kanuma, glejte navodilo za uporabo.

Zdravilo Kanuma se ne sme uporabljati pri bolnikih, ki so imeli smrtno nevarno alergijsko reakcijo na zdravilno učinkovino, ki se je ponovila po prekinitvi in ponovni uvedbi zdravljenja. Prav tako se ga ne sme uporabljati pri bolnikih s smrtno nevarno alergijo na jajca ali katero koli sestavino zdravila Kanuma.

Zakaj je bilo zdravilo Kanuma odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji je zaključil, da so koristi zdravila Kanuma večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se odobri za uporabo v EU. Odbor je upošteval pomanjkanje učinkovitih oblik zdravljenja pomanjkanja lizosomnega encima kisle lipaze in veliko umrljivost pri dojenčkih s hitro napredujočo boleznijo. Odbor CHMP je ugotovil, da je zdravilo Kanuma povzročilo pomembno izboljšanje preživetja dojenčkov in je bilo učinkovito pri izboljšanju simptomov bolezni pri bolnikih vseh starosti. Glede varnosti ni odkril nobenih velikih težav, resni

neželeni učinki pa so bili redki ali obvladljivi. Kljub temu pa so potrebni dodatni podatki o dolgoročnih koristih in varnosti zdravila.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Kanuma?

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila Kanuma je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu s tem načrtom so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila Kanuma in navodilo za njegovo uporabo vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

Poleg tega družba, ki trži zdravilo Kanuma, izvaja študijo pri dojenčkih s hitro napredujočo boleznijo in bo vzpostavila register bolnikov vseh starosti, s katerim bo pridobila dodatne podatke o dolgoročnih koristih in varnosti zdravila Kanuma, predvsem glede tveganja alergijskih reakcij in razvoja protiteles proti zdravilu. Družba bo prav tako pripravila izobraževalno gradivo za vse zdravnike, ki bodo predpisovali zdravilo Kanuma, s katerim jih bo spodbujala, naj bolnike vključijo v register, in jih obvestila o načinu spremljanja protiteles ter obravnavi bolnikov, pri katerih se razvijejo hude alergijske reakcije.

Dodatne informacije so na voljo v [povzetku načrta obvladovanja tveganj](#).

Druge informacije o zdravilu Kanuma

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) in povzetek načrta obvladovanja tveganj za zdravilo Kanuma sta na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Kanuma preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Kanuma je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).