



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kayfanda (odeviksibat)

Pregled zdravila Kayfanda in zakaj je odobreno v EU

### Kaj je zdravilo Kayfanda in za kaj se uporablja?

Kayfanda je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje holestatskega pruritusa (intenzivnega srbenja zaradi kopičenja žolča), ki ga povzroča Alagillov sindrom, pri bolnikih, starih šest mesecev ali več.

Alagillov sindrom je dedna bolezen, pri kateri se žolč (tekočina, ki nastaja v jetrih in pomaga pri razgradnji maščob) ne odvaja ustrezno iz jeter, kar privede do kopičenja žolčne kisline v jetrih in krvi. Eden od simptomov tega kopičenja je holestatski pruritis.

Zdravilo Kayfanda vsebuje učinkovino odeviksibat.

### Kako se zdravilo Kayfanda uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Kayfanda je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem Alagillovega sindroma.

Zdravilo Kayfanda je na voljo v obliki kapsul, ki se jemljejo peroralno, lahko pa se kapsule tudi odprejo, njihova vsebina pa se enkrat na dan vmeša v hrano ali tekočino. Odmerek je odvisen od telesne mase bolnika.

Če zdravljenje povzroči hudo drisko, ki traja več kot tri dni, ali če je za obvladovanje dehidracije, ki jo povzroča driska, potrebno intravensko (IV) nadomeščanje tekočine, se odmerek zdravila Kayfanda lahko zmanjša. Če se ta težava odpravi, se odmerek lahko poveča.

Za več informacij glede uporabe zdravila Kayfanda glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

### Kako zdravilo Kayfanda deluje?

Učinkovina v zdravilu Kayfanda, odeviksibat, zavira delovanje beljakovine, imenovane ilealni prenašalec žolčne kisline (IBAT), ki pomaga pri pretakanju žolčne kisline iz črevesja nazaj v kri in jetra. Odeviksibat z zaviranjem beljakovine IBAT olajša odstranjevanje žolčne kisline prek črevesja in zniža njeno količino v krvi, s čimer ublaži simptome holestatskega pruritisa.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)  
**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## Kakšne koristi zdravila Kayfanda so se pokazale v študijah?

V glavni študiji, v katero je bilo vključenih 52 otrok z Alagillovim sindromom, se je izkazalo, da zdravilo Kayfanda zmanjšuje holestatski pruritis. V tej študiji so bolnike zdravili z zdravilom Kayfanda ali placebom (zdravilom brez učinkovine). Po 24 tednih zdravljenja se je pri otrocih, ki so prejeli zdravilo Kayfanda, praskanje v povprečju zmanjšalo za približno 1,7 zjutraj in zvečer, kar so merili z vprašalnikom Albireo ObsRO za negovalce (orodjem, ki negovalcem pomaga zabeležiti resnost srbenja s pomočjo lestvice od 0 do 4, pri čemer višji rezultati kažejo na hujše srbenje), medtem ko se je pri otrocih, ki so prejeli placebo, ta vrednost v povprečju zmanjšala za približno 0,8.

Zdravljenje z zdravilom Kayfanda je privedlo tudi do izboljšanja spanja, katerega motnje povzroča holestatski pruritis. Po 21 do 24 tednih zdravljenja se je pri otrocih, ki so prejeli zdravilo Kayfanda, število dni, ko je bila potrebna pomoč pri usnavanju, zmanjšalo za približno 43 %, število dni, ko so potrebovali pomiritev pred spanjem, pa za približno 47 % dni, medtem ko se je pri otrocih, ki so prejeli placebo, zmanjšalo za približno 10 % oziroma 6 %. Po 20 in 24 tednih zdravljenja so se pri otrocih, ki so prejeli zdravilo Kayfanda, ravni žolčnih kislin v krvi znižale za približno 88 µmol/l v primerjavi s povečanjem za približno 25 µmol/l pri otrocih, ki so prejeli placebo.

## Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Kayfanda?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Kayfanda glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinek zdravila Kayfanda (ki se lahko pojavi pri več kot 1 od 10 bolnikov) je driska.

## Zakaj je bilo zdravilo Kayfanda odobreno v EU?

Alagillov sindrom je redka, smrtno nevarna bolezen. Hudo in dolgotrajno srbenje prizadene med 45 % in 88 % ljudi s tem sindromom. V času odobritve zdravila Kayfanda so bile možnosti zdravljenja holestatskega pruritisa, povezanega z Alagillovim sindromom, omejene.

Čeprav so bile v glavni študiji nekatere omejitve, vključno z majhnim številom bolnikov in kratkotrajnim spremljanjem bolnikov v študiji, je zdravljenje z zdravilom Kayfanda privedlo do smiselnega izboljšanja simptomov Alagillovega sindroma, kot sta srbenje in povezane motnje spanja. Zdravilo Kayfanda je bilo učinkovito tudi pri zniževanju ravni žolčnih kislin v krvi, kar je glavni vzrok holestatskega pruritisa.

Čeprav so podatki o varnosti zdravila Kayfanda omejeni in je treba zbrati dodatne informacije, se glavni neželeni učinki, kot so tisti, ki prizadenejo želodec in črevesje, štejejo za obvladljive. Glede na način delovanja zdravila se šteje, da je profil učinkovitosti in varnosti pri odraslih enak kot pri otrocih.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Kayfanda večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Kayfanda je pridobilo dovoljenje za promet „v izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh podatkov o zdravilu. Podjetje mora predložiti rezultate študije o dolgoročni varnosti zdravila Kayfanda za zdravljenje holestatskega pruritisa pri bolnikih, starih šest mesecev ali več, z Alagillovim sindromom. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke o varnosti in učinkovitosti zdravila Kayfanda.

## **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Kayfanda?**

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Kayfanda upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Kayfanda stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Kayfanda, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

## **Druge informacije o zdravilu Kayfanda**

Nadaljnje informacije za zdravilo Kayfanda so na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda).