

EMA/701703/2017
EMA/H/C/000943

Povzetek EPAR za javnost

Kuvan

sapropterinijev dihidroklorid

Ta dokument je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Kuvan. 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 Kuvan naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Kuvan in za kaj se uporablja?

Zdravilo Kuvan se uporablja za zdravljenje visoke ravni fenilalanina v krvi pri odraslih in otrocih vseh starosti z genskima motnjama fenilketonurijo (PKU) ali pomanjkanjem tetrahidrobiopterina (BH4).

Bolniki s tema boleznima ne morejo razgraditi aminokislina fenilalanin, ki je prisotna v beljakovinah v hrani, zaradi česar se ta kopiči v krvi in dosega neobičajno visoko raven, kar povzroča težave z živčnim sistemom.

Ker je bolnikov z boleznimi, ki vodijo do visoke ravni fenilalanina v krvi, malo, veljata bolezni za redki, zato je bilo zdravilo Kuvan 8. junija 2004 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo, ki se uporablja pri redkih boleznih).

Zdravilo Kuvan vsebuje zdravilno učinkovino sapropterinijev dihidroklorid.

Kako se zdravilo Kuvan uporablja?

Zdravilo Kuvan je na voljo v obliki topljivih tablet (100 mg) ali praška (100 mg ali 500 mg), ki se raztopijo v vodi in popijejo. Predpisovanje in izdaja zdravila Kuvan je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem PKU in pomanjkanja BH4. Pomembno je, da bolniki med zdravljenjem nadaljujejo z uživanjem prehrane z nizko vsebnostjo fenilalanina in beljakovin. Njihov vnos je treba nadzorovati in prilagajati, da bi zagotovili ustrezno raven fenilalanina v krvi in prehransko uravnoteženost. Zdravilo je namenjeno dolgotrajni uporabi.

Začetni odmerek je odvisen od bolnikove telesne mase. Nato se prilagodi glede na raven aminokislin, vključno s fenilalaninom, v krvi. Zdravilo Kuvan se vzame z obrokom vsak dan ob istem času, po možnosti zjutraj. Za doseglo najboljšega učinka bo pri nekaterih bolnikih s pomanjkanjem BH4 odmerek morda treba razdeliti na dva ali tri dele, ki jih bolnik vzame čez dan.

Zadovoljiv odziv je opredeljen kot vsaj 30-odstotno znižanje ravni fenilalanina v krvi ali znižanje na raven, ki jo določi zdravnik. Če je to stanje doseženo po enem mesecu, se bolnik oceni kot odziven in lahko še naprej jemlje zdravilo.

Kako zdravilo Kuvan deluje?

Visoke ravni fenilalanina v krvi so posledica težav pri pretvarjanju fenilalanina s pomočjo encima fenilalanin hidroksilaze. Bolniki s fenilketonurijo imajo okvarjeno različico encima, bolniki s pomanjkanjem BH4 pa nizko raven kofaktorja BH4, ki ga encim potrebuje za pravilno delovanje.

Zdravilna učinkovina zdravila Kuvan, sapropterinijev dihidroklorid, je sintetična kopija BH4. Pri fenilketonuriji deluje tako, da poveča aktivnost okvarjenega encima, pri pomanjkanju BH4 pa nadomesti manjkajoči kofaktor. S tem se ponovno vzpostavi sposobnost encima, da pretvarja fenilalanin v tirozin, s čimer se zniža raven fenilalanina v krvi.

Kakšne koristi je zdravilo Kuvan izkazalo v študijah?

Pri zdravljenju fenilketonurije so v glavni študiji, v kateri je sodelovalo 88 bolnikov, ki so prejeli bodisi zdravilo Kuvan bodisi placebo (zdravilo brez zdravilne učinkovine), primerjali znižanje ravni fenilalanina v krvi. V drugih dveh študijah, v katerih je sodeloval 101 bolnik, so proučevali učinkovitost zdravila pri tem, da bolnikom omogoči uživanje hrane, ki vsebuje fenilalanin, hkrati pa njegovo raven v krvi ohranja na ciljni ravni (tj. toleranca na fenilalanin).

Pri bolnikih s fenilketonurijo je bilo zdravilo Kuvan učinkovitejše od placeba pri znižanju ravni fenilalanina. Po šestih tednih se je raven fenilalanina znižala za 236 mikromolov na liter, pri osebah, ki so prejele placebo, pa se je zvišala za 3 mikromole na liter. Poleg tega so bolniki s fenilketonurijo, ki niso imeli omejenih prehrane in so se zdravili z zdravilom Kuvan, po desetih tednih lahko povečali dnevni vnos fenilalanina za 17,5 mg na kilogram telesne mase, v primerjavi s 3,3 mg/kg pri osebah, ki so prejele placebo. V primerjavi med bolniki, ki so se zdravili z zdravilom Kuvan in s prehranskimi omejitvami, ter osebami, ki so se zdravile zgolj s prehranskimi omejitvami, je bil v prvi skupini po 26 tednih povprečni tolerirani dnevni vnos fenilalanina 81 mg/kg, v drugi skupini pa 50 mg/kg.

Pri zdravljenju pomanjkanja BH4, zelo redke bolezni, je družba predstavila rezultate treh študij iz objavljenih literature, v katerih so nekatere bolnike zdravili s sapropterinom povprečno 15,5 meseca. V teh študijah je bilo pri bolnikih opaženo izboljšanje ravni fenilalanina v krvi in drugih označevalcev bolezni, če so jemali zdravilo.

V študije zdravila Kuvan so bili vključeni odrasli in otroci vseh starosti.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Kuvan?

Najpogostejša neželena učinka zdravila Kuvan (opažena pri več kot 1 bolniku od 10) sta glavobol in rinoreja (izcedek iz nosu).

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

Zakaj je bilo zdravilo Kuvan odobreno?

Agencija je zaključila, da so koristi zdravila Kuvan večje od z njim povezanih tveganj, in priporočila, da se zanj izda dovoljenje za promet.

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

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

Druge informacije o zdravilu Kuvan

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Kuvan, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala dne 2. decembra 2008.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Kuvan je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Kuvan je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Kuvan preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 07-2017.