



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Kanuma

sebelipas alfa

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Kanuma. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Kanuma ska användas.

Praktisk information om hur Kanuma ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Kanuma och vad används det för?

Kanuma är ett läkemedel som används vid behandling av patienter i alla åldrar med brist på lysosomalt surt lipas. Detta är en ärftlig sjukdom som orsakas av en brist på ett enzym som kallas lysosomalt surt lipas, vilket kroppen behöver för att bryta ner fett inuti cellerna. När enzymet inte finns eller bara förekommer i låga halter leder detta till att fett ansamlas i kroppens celler, vilket orsakar symtom såsom utebliven tillväxt och leverskada.

Eftersom antalet patienter med brist på lysosomalt surt lipas är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Kanuma klassificerades som säriläkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 17 december 2010.

Kanuma innehåller den aktiva substansen sebelipas alfa.

Hur används Kanuma?

Behandling med Kanuma ska övervakas av läkare med erfarenhet av behandling av brist på lysosomalt surt lipas, andra metabola sjukdomar eller leversjukdomar. Behandlingen ska ges av utbildad sjukvårdspersonal som kan hantera medicinska akutfall (såsom svår allergi). Läkemedlet är receptbelagt.



Kanuma finns som ett koncentrat som bereds till en infusionsvätska, lösning (dropp) i en ven. Rekommenderad dos är 1 mg per kg kroppsvikt, vilket ges en gång varannan vecka. Infusionen ska pågå omkring 1 till 2 timmar.

Hos patienter med snabbt försämrande sjukdom före 6 månaders ålder ges en dos på 1 mg/kg en gång i veckan i stället för en gång varannan vecka; hos dessa patienter kan dosen ökas till 3 mg/kg en gång i veckan beroende på behandlingssvaret.

Kanuma ska sättas in så tidigt som möjligt efter diagnosen och är avsett för långvarig användning.

Hur verkar Kanuma?

Den aktiva substansen i Kanuma, sebelipas alfa, är en kopia av det enzym som saknas hos patienter med brist på lysosomalt surt lipas. Sebelipas alfa ersätter det saknade enzymet, hjälper till att bryta ner fetter och förhindrar att de lagras i kroppens celler.

Vilken nytta med Kanuma har visats i studierna?

Kanuma har undersökts i 2 huvudstudier på patienter med brist på lysosomalt surt lipas. Den första studien omfattade 9 spädbarn med utebliven tillväxt eller andra belägg för en snabbt försämrande sjukdom under de första 6 levnadsmånaderna. Studien visade att 6 av de 9 spädbarn som fick Kanuma överlevde till 1 års ålder. Tillväxtökningar sågs även hos samtliga av de 6 överlevande spädbarnen.

Den andra studien omfattade 66 patienter (barn och vuxna) och jämförde Kanuma med placebo (en överksam behandling). Huvudmålet på effekt var andelen patienter som uppnådde normala halter av ett leverenzym som kallas ALT efter 5 månaders behandling. Höga halter av ALT-enzym är ett tecken på leverskada. I denna studie uppnådde 31 procent av patienterna som fick Kanuma (11 av 36) normala halter av ALT-enzym, jämfört med 7 procent av patienterna som fick placebo (2 av 30).

Vilka är riskerna med Kanuma?

De allvarligaste biverkningarna som orsakas av Kanuma (uppträder hos omkring 3 av 100 patienter) är tecken och symtom på svåra allergiska reaktioner. I dessa ingår obehag i bröstet, röda ögon, svullnad i ögonlocken, andningssvårigheter, kliande hudutslag, nässelfeber, rodnad, snuva, snabba hjärtslag och snabb andning. Utveckling av antikroppar mot läkemedlet har även rapporterats, särskilt hos spädbarn. Om antikroppar bildas kan detta leda till att Kanuma inte verkar effektivt. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Kanuma finns i bipacksedeln.

Kanuma får inte ges till patienter som haft en livshotande allergisk reaktion mot den aktiva substansen vilken återkom efter att behandlingen avbröts och åter sattes in. Det får heller inte ges till patienter med livshotande allergi mot ägg eller något av innehållsämnen i Kanuma.

Varför godkänns Kanuma?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att nyttan med Kanuma är större än riskerna och rekommenderade att Kanuma skulle godkännas för försäljning i EU. Kommittén noterade bristen på effektiva behandlingar för brist på lysosomalt surt lipas och den höga mortaliteten för spädbarn med en snabbt försämrande sjukdom. CHMP fann att Kanuma ledde till en signifikant förbättrad överlevnad för spädbarn och var effektivt när det gäller att förbättra symtomen på sjukdomen hos patienter i alla åldrar. Vad gäller säkerheten har inga större problem fastställts och de allvarliga biverkningarna var sällsynta eller hanterbara. Emellertid behövs mer data om läkemedlets långvariga nytta och säkerhet.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Kanuma?

En riskhanteringsplan har tagits fram för att se till att Kanuma används så säkert som möjligt. I enlighet med denna plan har säkerhetsinformation tagits med i produktresumén och bipacksedeln för Kanuma. Där anges också lämpliga försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska vidta.

Företaget som marknadsför Kanuma utför dessutom en studie på spädbarn med snabbt försämrande sjukdom och kommer att upprätta ett register över patienter i alla åldrar för att utvinna mer information om den långvariga nyttan och säkerheten av Kanuma, särskilt om risken för allergiska reaktioner och utvecklingen av antikroppar mot läkemedlet. Dessutom kommer företaget att tillhandahålla utbildningspaket till alla läkare som förväntas förskriva Kanuma, samt uppmuntra dem att skriva in patienter i registret och informera dem om hur man övervakar patienter avseende antikroppar and hanterar patienter som utvecklar svåra allergiska reaktioner.

I [sammanfattningen av riskhanteringsplanen](#) finns mer information.

Mer information om Kanuma

EPAR och sammanfattningen av riskhanteringsplanen finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports Mer information om behandling med Kanuma finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Kanuma från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.