



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (*odevixibat*)

Sammanfattning av Kayfanda och varför det är godkänt inom EU

Vad är Kayfanda och vad används det för?

Kayfanda är ett läkemedel som används för att behandla kolestatisk klåda (intensiv klåda på grund av ansamling av galla) orsakad av Alagilles syndrom hos patienter från 6 månaders ålder.

Alagilles syndrom är en ärftlig sjukdom där gallan (en vätska som bildas i levern och som hjälper till att bryta ner fett i maten) inte dräneras ordentligt från levern, vilket leder till en ansamling av gallsyra i levern och blodet. Ett av symtomen på detta är kolestatisk klåda.

Kayfanda innehåller den aktiva substansen odevixibat.

Hur används Kayfanda?

Kayfanda är receptbelagt och behandling måste inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla Alagilles syndrom.

Kayfanda finns som kapslar som tas genom munnen. Alternativt kan kapseln öppnas, och dess innehåll strös på mat eller i vätska, en gång om dagen. Dosen beror på patientens kroppsvikt.

Om behandlingen orsakar svår diarré som varar längre än tre dagar, eller om det krävs intravenösa (i.v.) vätskor för att hantera uttorkning till följd av diarrén, kan dosen av Kayfanda sänkas. Om diarrén upphör kan dosen ökas.

För mer information om hur du använder Kayfanda, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Kayfanda?

Den aktiva substansen i Kayfanda, odevixibat, blockerar verkan av ileal gallsyrettransportör (IBAT), ett protein som hjälper till att transportera gallsyra från tarmen tillbaka till blodet och levern. Genom att blockera IBAT underlättar odevixibat avlägsnandet av gallsyra genom tarmen och minskar mängden gallsyra i blodet, vilket lindrar symtomen på kolestatisk klåda.



Vilka fördelar med Kayfanda har visats i studierna?

Kayfanda visade sig minska kolestatisk klåda i en huvudstudie på 52 barn med Alagilles syndrom. I denna studie behandlades patienterna med antingen Kayfanda eller placebo (overksam behandling). Efter 24 veckors behandling hade barnen som fick Kayfanda i genomsnitt en minskning på cirka 1,7 i morgon- och kvällsbedömningen av klåda i enlighet med Albireo ObsRO-frågeformuläret för vårdgivare (ett verktyg som hjälper vårdgivare att registrera hur svår klådan är på en skala från 0 till 4, där högre poäng betyder allvarligare klåda), medan barnen som fick placebo i genomsnitt hade en minskning på cirka 0,8.

Behandling med Kayfanda resulterade också i en förbättring av sömnstörningar till följd av kolestatisk klåda. Efter 21–24 veckors behandling uppvisade barn som fick Kayfanda en minskning på omkring 43 procent av antalet dagar de behövde hjälp med att somna och en minskning på omkring 47 procent av de dagar de behövde lugnas för att somna, jämfört med en minskning på omkring 10 procent respektive 6 procent hos barn som behandlades med placebo. Efter 20 och 24 veckors behandling uppvisade barn som fick Kayfanda en minskning av gallsyrenivåerna i blodet på omkring 88 µmol/l, jämfört med en ökning på omkring 25 µmol/l hos barn som fick placebo.

Vilka är riskerna med Kayfanda?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Kayfanda finns i bipacksedeln.

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Kayfanda (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är diarré.

Varför är Kayfanda godkänt i EU?

Alagilles syndrom är ett sällsynt och livshotande tillstånd. Svår och ihållande klåda drabbar mellan 45 procent och 88 procent av personer med detta syndrom. Vid tidpunkten för godkännandet av Kayfanda fanns det begränsade behandlingsalternativ för kolestatisk klåda i samband med Alagilles syndrom.

Även om det fanns vissa begränsningar i huvudstudien, bland annat det låga antalet patienter och den korta uppföljningstiden för patienterna i studien, ledde behandling med Kayfanda till meningsfulla förbättringar av symtomen på Alagilles syndrom, såsom klåda och tillhörande sömnstörningar. Kayfanda var också effektivt när det gäller att minska halterna av gallsyra i blodet, vilket är den främsta orsaken till kolestatisk klåda.

Även om uppgifterna om Kayfandas säkerhet är begränsade och ytterligare information behöver samlas in anses de huvudsakliga biverkningarna, till exempel de som påverkar mage och tarm, vara hanterbara. Baserat på hur läkemedlet verkar anses effekt- och säkerhetsprofilen hos vuxna vara densamma som hos barn.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Kayfanda är större än riskerna och att Kayfanda kan godkännas för försäljning i EU.

Kayfanda har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Kayfanda eftersom sjukdomen är sällsynt. Företaget måste lämna in resultaten av en studie om Kayfandas långsiktiga säkerhet för behandling av kolestatisk klåda hos patienter från 6 månaders ålder med Alagilles syndrom. EMA kommer att granska ny information om Kayfandas säkerhet och effekt varje år.

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

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Kayfanda har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Kayfanda kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Kayfanda utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Kayfanda

Mer information om Kayfanda finns på EMA:s webbplats:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.