



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumen del EPAR para el público general

Kanuma

sebelipasa alfa

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Kanuma. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado dicho medicamento para recomendar su autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Kanuma.

Para más información sobre el tratamiento con Kanuma, el paciente deberá leer el prospecto o consultar a su médico o farmacéutico.

¿Qué es Kanuma y para qué se utiliza?

Kanuma es un medicamento indicado para el tratamiento de pacientes de todas las edades con deficiencia de lipasa ácida lisosómica. Se trata de una enfermedad hereditaria provocada por la falta de una enzima denominada lipasa ácida lisosómica, necesaria para descomponer la grasa en las células. Cuando una enzima está ausente o presente solo a niveles bajos, la grasa se acumula en las células del organismo, provocando síntomas como retraso de crecimiento y daño hepático.

Debido a que el número de pacientes afectados por la deficiencia de lipasa ácida lisosómica es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Kanuma fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 17 de diciembre de 2010.

Contiene el principio activo sebelipasa alfa.

¿Cómo se usa Kanuma?

El tratamiento con Kanuma debe ser supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de la deficiencia de lipasa ácida lisosómica, otras enfermedades metabólicas o enfermedades hepáticas. El tratamiento debe ser administrado por un profesional sanitario cualificado, que pueda tratar urgencias médicas (como una alergia grave). Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica.



Kanuma se presenta en forma de concentrado para la preparación de una solución para infusión (goteo) intravenosa. La dosis recomendada es de 1 mg por kilogramo de peso corporal cada dos semanas. La infusión debe durar alrededor de 1 a 2 horas.

En los pacientes en los que haya una progresión rápida de la enfermedad antes de los 6 meses de edad, se administra una dosis de 1 mg/kg una vez a la semana en lugar de cada dos semanas; en estos pacientes la dosis puede aumentarse a 3 mg/kg una vez a la semana, dependiendo de la respuesta al tratamiento.

Kanuma debe iniciarse lo antes posible después del diagnóstico y está destinado a su uso a largo plazo.

¿Cómo actúa Kanuma?

El principio activo de Kanuma, sebelipasa alfa, es una copia de la enzima de la que carecen los pacientes con deficiencia de la lipasa ácida lisosómica. La sebelipasa alfa sustituye a la enzima que falta, ayudando a descomponer las grasas y deteniendo su acumulación en las células del organismo.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Kanuma en los estudios realizados?

Se ha estudiado Kanuma en dos estudios principales en pacientes con deficiencia de lipasa ácida lisosómica. El primer estudio incluía 9 lactantes con retraso de crecimiento u otros signos de enfermedad en rápida progresión durante los 6 primeros meses de vida. El estudio mostró que 6 de 9 lactantes a los que se administró Kanuma sobrevivieron al año de edad. También se observaron mejoras del crecimiento en los 6 lactantes supervivientes.

En el segundo estudio participaron 66 pacientes (niños y adultos) y se comparó Kanuma con placebo (un tratamiento simulado). El principal criterio de valoración de la eficacia fue la proporción de pacientes que alcanzaron niveles normales de una enzima hepática denominada ALT al cabo de 5 meses de tratamiento. Los niveles elevados de enzimas ALT son un signo de daño hepático. En este estudio, el 31 % de los pacientes a los que se administró Kanuma (11 de 36) alcanzaron niveles normales de enzimas ALT, en comparación con el 7 % de los pacientes que recibieron placebo (2 de 30).

¿Cuál es el riesgo asociado a Kanuma?

Los efectos secundarios más graves de Kanuma (observados en aproximadamente 3 de cada 100 pacientes) son signos y síntomas de reacciones alérgicas graves. Incluyen molestias torácicas, enrojecimiento ocular, inflamación de los párpados, dificultad respiratoria, eccema pruriginoso, urticaria, sofocos, rinorrea, latido cardíaco rápido y respiración acelerada. También se ha notificado el desarrollo de anticuerpos contra el medicamento, especialmente en lactantes. Si el paciente desarrolla anticuerpos, Kanuma no funcionará eficazmente. Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados con Kanuma, ver el prospecto.

Kanuma no está indicado en pacientes que hayan sufrido una reacción alérgica potencialmente mortal al principio activo, que reapareció después de interrumpir y reiniciar el tratamiento. Además no debe usarse en pacientes con alergia potencialmente mortal a los huevos o cualquier componente de Kanuma.

¿Por qué se ha aprobado Kanuma?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHPM) de la Agencia decidió que los beneficios de Kanuma son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE. El Comité señaló la falta

de cualquier otro tratamiento eficaz para la deficiencia de la lipasa ácida lisosómica y la elevada mortalidad en lactantes con enfermedad en rápida progresión. El CHMP consideró que Kanuma mejoraba significativamente la supervivencia de los lactantes y era eficaz en la mejora de los síntomas de la enfermedad en pacientes de todas las edades. En cuanto a la seguridad, no se han detectado problemas importantes y los efectos secundarios graves fueron raros o tratables. Sin embargo, se necesitan más datos sobre los beneficios a largo plazo y la seguridad del medicamento.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro de Kanuma?

Se ha elaborado un plan de gestión de riesgos para garantizar que Kanuma se administre de la forma más segura posible. Basándose en este plan, se ha incluido en el Resumen de las Características del Producto y el prospecto de Kanuma la información sobre seguridad que incluye las precauciones pertinentes que deben adoptar los profesionales sanitarios y los pacientes.

Además, la empresa que comercializa Kanuma está llevando a cabo un estudio en lactantes con la enfermedad en rápida progresión y establecerá un registro de pacientes de todas las edades para obtener más información sobre los beneficios a largo plazo y la seguridad de Kanuma, especialmente, sobre el riesgo de reacciones alérgicas y el desarrollo de anticuerpos contra el medicamento. La empresa también proporcionará material educativo a todos los médicos de los que se espera que receten Kanuma, para fomentar la inclusión de pacientes en el registro, informar sobre cómo vigilar en pacientes la formación de anticuerpos y tratar a los pacientes que sufran reacciones alérgicas graves.

Encontrará más información en el [resumen del plan de gestión de riesgos](#)

Otras informaciones sobre Kanuma

El EPAR completo y el resumen del plan de gestión de riesgos de Kanuma pueden consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para más información sobre el tratamiento con Kanuma, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Kanuma puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).