



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kayfanda (*odevixibat*)

Información general sobre Kayfanda y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Kayfanda y para qué se utiliza?

Kayfanda es un medicamento que se utiliza para tratar el prurito colestático (picor intenso debido a la acumulación de bilis) causado por el síndrome de Alagille en pacientes a partir de 6 meses de edad.

El síndrome de Alagille es una enfermedad hereditaria en la que la bilis (un líquido producido en el hígado que ayuda a descomponer las grasas) no puede drenarse adecuadamente del hígado, lo que da lugar a una acumulación de ácidos biliares en el hígado y la sangre. Uno de los síntomas de esta acumulación es el prurito colestático.

Kayfanda contiene el principio activo odevixibat.

¿Cómo se usa Kayfanda?

Kayfanda solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento lo debe iniciar y supervisar un médico con experiencia en el tratamiento del síndrome de Alagille.

Kayfanda se presenta en cápsulas que se toman por vía oral o, alternativamente, se puede abrir la cápsula y espolvorear su contenido sobre alimentos o líquidos, una vez al día. La dosis se calcula en función del peso del paciente.

La dosis de Kayfanda puede reducirse si el tratamiento provoca diarrea grave durante más de tres días, o si se necesitan líquidos intravenosos (IV) para tratar la deshidratación causada por la diarrea. La dosis podrá aumentarse cuando se haya resuelto el problema.

Si desea más información sobre el uso de Kayfanda, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Kayfanda?

El principio activo de Kayfanda, el odevixibat, bloquea la acción de una proteína conocida como transportador ileal de ácidos biliares (IBAT) que ayuda a transportar los ácidos biliares del intestino a

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

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



la sangre y el hígado. Al bloquear el IBAT, el odevixibat facilita la eliminación de los ácidos biliares a través del intestino y reduce la cantidad de estos ácidos en la sangre, lo que alivia los síntomas del prurito colestático.

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

Se ha demostrado que Kayfanda reduce el prurito colestático en un estudio principal en el que participaron 52 niños con síndrome de Alagille. En este estudio, los pacientes fueron tratados con Kayfanda o con un placebo (un tratamiento ficticio). Después de 24 semanas de tratamiento, los niños a los que se administró Kayfanda presentaron, por término medio, una reducción de alrededor de 1,7 por la mañana y por la noche según el cuestionario para cuidadores de Albireo ObsRO (una herramienta que ayuda a los cuidadores a registrar la gravedad del picor, utilizando una escala de 0 a 4, en la que la puntuación más alta indica un picor más grave), mientras que los niños a los que se administró placebo presentaron, por término medio, una reducción de alrededor de 0,8.

El tratamiento con Kayfanda también mejoró las alteraciones del sueño causadas por el prurito colestático. Al cabo de 21 a 24 semanas de tratamiento, los niños a los que se administró Kayfanda experimentaron una reducción de alrededor del 43 % de días en los que necesitaron ayuda para quedarse dormidos y una reducción de alrededor del 47 % de días en los que precisaron medidas de alivio para quedarse dormidos, en comparación con una reducción de alrededor del 10 % y el 6 % respectivamente en los niños tratados con placebo. Después de 20 y 24 semanas de tratamiento, los niños a los que se administró Kayfanda presentaron una reducción de los niveles sanguíneos de ácidos biliares de alrededor de 88 $\mu\text{mol/l}$, en comparación con un aumento de alrededor de 25 $\mu\text{mol/l}$ en los niños a los que se administró placebo.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Kayfanda?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Kayfanda se puede consultar en el prospecto.

El efecto adverso más frecuente de Kayfanda (puede afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) es la diarrea.

¿Por qué se ha autorizado Kayfanda en la UE?

El síndrome de Alagille es una enfermedad rara y potencialmente mortal. El picor grave y persistente afecta a entre el 45 % y el 88 % de las personas con este síndrome. En el momento de la aprobación de Kayfanda, las opciones de tratamiento para el prurito colestático asociado al síndrome de Alagille eran limitadas.

Aunque el estudio principal tuvo algunas limitaciones, como el reducido número de pacientes y la corta duración del seguimiento de los pacientes en el estudio, el tratamiento con Kayfanda produjo mejoras significativas en los síntomas del síndrome de Alagille, como el picor y las alteraciones del sueño asociadas. Kayfanda también fue eficaz en la reducción de los niveles sanguíneos de ácidos biliares, que es la principal causa del prurito colestático.

Aunque los datos sobre la seguridad de Kayfanda son limitados y es necesario recopilar más información, los principales efectos adversos, como los que afectan al estómago y al intestino, se consideran controlables. En función de cómo actúe el medicamento, se considera que el perfil de eficacia y seguridad en adultos es el mismo que en niños.

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Kayfanda eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

Kayfanda se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Kayfanda debido a la rareza de la enfermedad. La compañía debe presentar los resultados de un estudio sobre la seguridad a largo plazo de Kayfanda para el tratamiento del prurito colestático en pacientes mayores de 6 meses con síndrome de Alagille. Cada año, la Agencia Europea de Medicamentos revisará cualquier nueva información relativa a la seguridad y la eficacia de Kayfanda.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Kayfanda?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Kayfanda se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Kayfanda se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Kayfanda se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Kayfanda

Puede encontrar más información sobre Kayfanda en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/kayfanda.