

Kanuma<sup>®</sup> ▼ (sebelipaasialfa) 2 mg/ml  
infuusiokonsentraatti, liuosta varten

# TERVEYDENHUOLLON AMMATTILAISTEN OPAS

## Tärkeitä turvallisuustietoja:

Tämä opas sisältää tärkeitä turvallisuustietoja. Lue opas tarkoin ja käytä sitä määrätessäsi Kanuma valmistetta.

Opas on laadittu osana Kanuma-valmisteen riskienhallintasuunnitelmaa, ja se sisältää toimia riskien minimoimiseksi ja siten lääkevalmisteen turvallisen ja tehokkaan käytön takaamiseksi.

Tämä opas on välttämätön osa Kanuma-valmisteen myyntilupaprosessia. Näin varmistetaan, että terveydenhuollon ammattilaiset huomioivat tämän lääkevalmisteen määräämiseen liittyvät erityiset turvallisuusvaatimukset.

▼ Tähän lääkevalmisteeseen kohdistuu lisäseuranta. Tällä tavalla voidaan havaita nopeasti turvallisuutta koskevaa uutta tietoa. Terveydenhuollon ammattilaisia pyydetään ilmoittamaan epäillyistä lääkkeen haittavaikutuksista. Lisätietoja haittavaikutusten ilmoittamisesta, ks. sivu 7.

Lue valmisteyhteenveto huolellisesti ennen Kanuma-valmisteen määräämistä tai antamista.



# Sisällys

<b>JOHDANTO</b>	<b>4</b>
• Lysosomaalisen happamen lipaasin puutoksen tautirekisteri	4
<b>YLIHERKKYYSREAKTIOT, MUKAAN LUKIEN ANAFYLAKSIA</b>	<b>4</b>
<b>YLIHERKKYYSREAKTIOIDEN (MUKAAN LUKIEN ANAFYLAKSIA) EHKÄISY JA HOITO</b>	<b>5</b>
<b>IMMUNOGEENISUUS</b>	<b>6</b>
• Lääkevasta-aineiden (ADA) testaus	6
<b>YHTEYSTIEDOT</b>	<b>7</b>
• Haittavaikutuksista ilmoittaminen	7
• Lääkevasta-aineiden testaus	7
• Lysosomaalisen happamen lipaasin puutoksen tautirekisteri	7

## JOHDANTO

Kanuma (sebelipaasialfa) on tarkoitettu pitkäaikaiseen entsyymikorvaushoitoon kaiken ikäisille lysosomaalisen happamen lipaasin puutosta sairastaville potilaille.

Lue valmisteyhteenvedo huolellisesti ennen Kanuma-valmisteen määräämistä tai antamista. Valmisteyhteenvedon täydellinen ja päivitetty teksti on saatavana osoitteessa [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu) tai [www.pharmacafennica.fi](http://www.pharmacafennica.fi).

### LYSOSOMAALISEN HAPPAMEN LIPAASIN PUUTOKSEN TAUTIREKISTERI

Jotta Kanuma-hoidon pitkäaikaisesta turvallisuudesta saataisiin lisätietoja, terveydenhuollon ammattilaisia kehoitetaan rekisteröimään lysosomaalisen happamen lipaasin puutoksen tautirekisteriin kaikki potilaat, joilla tauti on diagnosoitu. Kyseessä on yleinen tautirekisteri, joka ei rajoitu Kanuma-hoitoa saaviin potilaisiin. Rekisterin tarkoituksena on kerätä tietoja taudin etenemisestä ja hoitovaikutuksista, eikä se rajoitu Kanuma-valmisteen saamiseen. Lisätietoja rekisteröitymisestä, ks. sivu 7.

## YLIHERKKYYSREAKTIOT, MUKAAN LUKIEN ANAFYLAKSIA

Kanuma-hoitoa saaneiden potilaiden kliinisissä tutkimuksissa yliherkkyysoireita esiintyi 59 potilaalla 125:stä (47%) ja anafylaktisia reaktioita 5 potilaalla 125:stä (4%). Reaktioiden esiintyvyys väheni hoidon jatkuessa, mutta reaktioita havaittiin myös vielä vuoden kuluttua hoidon alkamisesta.

Yliherkkyysoireiden / anafylaktisten reaktioiden yhteydessä esiintyi seuraavia merkkejä ja oireita:

- epämiellyttävä tunne rinnassa, hengenahdistus, tiheä hengitys, vaikeat hengitysvaikeudet
- kutina, ihottuma, ekseema, huulten turvotus, nokkosihottuma
- bronkospasmi, nuha, punastelu
- sidekalvon hyperemia, hyperemia
- hengityksen vinkuminen, hypoksia
- kasvojen, silmäluomien tai kurkunpään turvotus; turvotus
- takykardia, hypertensio
- kalpeus
- vatsakipu, pahoinvointi, ripuli, oksentelu
- kiihtyneisyys, ärtyneisyys
- kuume, vilunväreet.

Useimmat reaktioista esiintyivät infuusion aikana tai 4 tunnin kuluessa infuusion lopettamisesta.

## YLIHERKKYYSREAKTIOIDEN (MUKAAN LUKIEN ANAFYLAKSIA) EHKÄISY JA HOITO

1. Varmista, että **asianmukainen tukihoido** (mukaan lukien tarvittava lääkehoito) on helposti saatavilla Kanuma-hoitoa annettaessa.
2. **Tarkkaile potilasta 1 tunnin ajan** anafylaksian tai vaikean yliherkkyyssreaktion merkkien tai oireiden varalta ensimmäisen Kanuma-infuusion jälkeen (mukaan lukien ensimmäinen annos annoksen suurentamisen jälkeen).
3. Jos Kanuma-valmisteen annon aikana esiintyy yliherkkyyssreaktion merkkejä, infuusionopeutta voidaan hidastaa tai infuusio voidaan keskeyttää hoitohenkilöstön harkinnan mukaan.
4. **Jos anafylaksia ilmenee, infuusio on lopetettava välittömästi!** Jätä kanyyli paikoilleen mahdollista lääkehoitoa varten.
5. Aloita yliherkkyyssreaktion **tavanomainen lääkehoito**, johon voi kuulua seuraavia:
  - antihistamiinit
  - kuumeläkkeet
  - kortikosteroidit.
6. **Valmistetta on annettava varoen uudelleen** sellaisille potilaille, joilla on esiintynyt infuusion aikana allergisia reaktioita. Aloita hitaammalla antonopeudella ja suurennat nopeutta potilaan sietokyvyn mukaan.
7. **Jos potilaalla esiintyy vaikea reaktio**, Kanuma-valmisteen uudelleen antamisen **riskejä ja hyötyjä** on harkittava.
8. **Harkitse esilääkitykseksi** kuumeläkkeitä ja/tai antihistamiineja, sillä niiden avulla voidaan ehkäistä uusia reaktioita potilailla, jotka ovat tarvinneet oireidenmukaista hoitoa.

Sivulla 7 on yhteystiedot haittatapahtumien ilmoittamista varten.

## IMMUNOGEENISUUS

Kliinisissä avaintutkimuksissa todettiin lääkevasta-aineita (ADA) 15 prosentilla (19/125) Kanuma hoitoa saaneista potilaista jonakin ajankohtana hoidon aloituksen jälkeen. Heistä kaikkiaan 11 potilaalla todettiin myös neutraloivien vasta-aineiden (NAb) aktiivisuutta jonakin ajankohtana lähtötilanteen jälkeen.

- Tietojen kerääminen Kanuma-valmisteeseen lääkevasta-aineista on tärkeää, koska näitä tietoja käytetään arvioitaessa lääkevasta-aineiden kehittymisen vaikutusta hoitovasteen mahdolliseen katoamiseen tai mahdollisten yliherkkyysoireiden (mukaan lukien anafylaksia) kehittymistä sekä tukemaan lääkevasta-aineiden kehittymiseen liittyvien muiden riskitekijöiden tunnistamista.
- Potilailta on suositeltavaa testata Kanuma-valmisteeseen lääkevasta-aineet, mikäli vaikeita infuusioreaktioita esiintyy tai hoitoteho puuttuu tai katoaa.
- Lääkevasta-aineiden / neutraloivien vasta-aineiden kehittymisen ja niihin liittyvien yliherkkyysoireiden tai suboptimaalisen kliinisen vasteen välisestä suhteesta ei toistaiseksi voida tehdä johtopäätöksiä. Kliinisissä tutkimuksissa kolmelle potilaalle, jotka olivat homotsygoottisia lipaasi A-, lysosomihappo (LIPA)- ja kolesteroli-25-hydroksylaasigeenien molempia alleeleja koskevan deleetion suhteen, kehittyi neutraloivien vasta-aineiden aktiivisuutta, johon liittyi suboptimaalinen kliininen vaste. Näille potilaille annettiin immunomodulatorista hoitoa joko yksin tai yhdessä hematopoieettisten kantasolujen siirron tai luuydinsiirron kanssa, jolloin kliininen vaste Kanuma-valmisteelle parani.

### Lääkevasta-aineiden (ADA) testaus

Lisätietoja lääkevasta-aineiden testauksesta:

- Terveystieteen ammattilaisten suositellaan testaavan potilaistaan Kanuma-valmisteeseen lääkevasta-aineet, mikäli vaikeita infuusioreaktioita esiintyy tai hoitoteho puuttuu tai katoaa.
- Koska markkinoilla ei ole saatavana Kanuma-valmisteeseen lääkevasta-aineiden testejä, myyntiluvan haltija huolehtii potilaalle maksuttomasta testauksesta testin toimittajan kautta.
- Lääkevasta-aineiden testausvälineet ja käyttöohjeet tarjoaa testin toimittaja. Yhteystiedot löytyvät sivulta 7. Käyttöohjeet sisältävät tietoa lääkevasta-ainenäytteiden ottamisesta, käsittelystä ja lähettämisestä.
- Tulokset toimitetaan terveydenhuoltoon testin toimittajan laboratorioportaalin kautta.
- Lääkevasta-ainetestien anonymisoidut tulokset lähetetään Alexionin tutkimus- ja kehitystiimille.

## YHTEYSTIEDOT

### Haittavaikutuksista ilmoittaminen

On tärkeää ilmoittaa myyntiluvan myöntämisen jälkeisistä lääkevalmisteen epäillyistä haittavaikutuksista. Se mahdollistaa lääkevalmisteen hyöty-haittatasapainon jatkuvan arvioinnin. Terveystieteiden ammattilaisia pyydetään ilmoittamaan kaikista epäillyistä haittavaikutuksista seuraavalle taholle:

www-sivusto: [www.fimea.fi](http://www.fimea.fi)  
Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea  
Lääkkeiden haittavaikutusrekisteri  
PL 55  
00034 FIMEA

### Lääkevasta-aineiden testaus

Lisätietoja lääkevasta-aineiden testauksesta saat ottamalla yhteyttä Alexionin lääketieteellisen tiedotuksen tiimiin (yhteystiedot jäljempänä).

### Lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen tautirekisteri

Lisätietoja lysosomaalisen happaman lipaasin puutoksen tautirekisteristä saat ottamalla yhteyttä Alexionin lääketieteellisen tiedotuksen tiimiin (yhteystiedot jäljempänä).

Lisätietoja, ks. valmisteyhteenvedon osoitteessa [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu), [www.pharmacafennica.fi](http://www.pharmacafennica.fi) tai ota yhteyttä Alexionin lääketieteellisen tiedotuksen tiimiin:

Sähköposti: [medinfo.EMEA@alexion.com](mailto:medinfo.EMEA@alexion.com)  
Puh: +46 8 506 30 762

