



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/241528/2017
EMA/H/C/004061

Резюме на EPAR за обществено ползване

Хенодеоксихолева киселина Leadiant¹

хенодеоксихолева киселина

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Хенодеоксихолева киселина Leadiant. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Хенодеоксихолева киселина Leadiant.

За практическа информация относно употребата на Хенодеоксихолева киселина Leadiant пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

Какво представлява Хенодеоксихолева киселина Leadiant и за какво се използва?

Хенодеоксихолева киселина Leadiant е лекарство, което съдържа активното вещество хенодеоксихолева киселина (*chenodeoxycholic acid*). Тя представлява „първична жлъчна киселина“, която е основен компонент на жлъчката (течност, произвеждана от черния дроб, която помага за усвояването на мазнините).

Хенодеоксихолева киселина Leadiant се използва за лечение на възрастни и деца на възраст един месец и повече с церебротендиозна ксантоматоза. Тези пациенти не могат да произвеждат достатъчно количество от първичната жлъчна киселина хенодеоксихолева киселина поради генетични аномалии, което води до липса на чернодробния ензим стерол 27-хидроксилаза. При липса на първични жлъчни киселини организмът произвежда вместо тях абнормни жлъчни киселини и други вещества, които се натрупват в организма и причиняват увреждане.

¹ С предишно наименование Хенодеоксихолева киселина sigma-tau.



Тъй като броят на пациентите с това заболяване е малък, болестта се счита за „рядка“ и Хенодеоксихолева киселина Leadiant е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 16 декември 2014 г.

Хенодеоксихолева киселина Leadiant е „хибридно лекарство“. Това означава, че е подобно на „референтно лекарство“, което съдържа същото активно вещество. Референтното лекарство за Хенодеоксихолева киселина Leadiant е Xenbilox. Xenbilox се различава от Хенодеоксихолева киселина Leadiant по това, че е разрешен за друга употреба (за разтваряне на жлъчни камъни от холестерол).

Как се използва Хенодеоксихолева киселина Leadiant?

Хенодеоксихолева киселина Leadiant се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се започне и да се наблюдава от лекар с опит в лечението на церебротендинозна ксантоматоза или други заболявания на производството на първични жлъчни киселини.

Хенодеоксихолева киселина Leadiant се предлага под формата на капсули (250 mg), които се приемат три пъти на ден приблизително по едно и също време всеки ден. Дневната доза се определя и коригира по време на лечението за всеки пациент в зависимост от възрастта, чернодробната функция и нивата на жлъчните киселини в кръвта и урината на пациента. За малки деца и деца, които не могат да поглъщат капсулите, съдържанието на капсулите може да се смеси с 8,4 % разтвор на натриев бикарбонат за получаване на течност.

За повече информация вижте листовката.

Как действа Хенодеоксихолева киселина Leadiant?

Хенодеоксихолева киселина Leadiant е една от основните първични жлъчни киселини, произвеждани от черния дроб. Хенодеоксихолевата киселина, съдържаща се в това лекарство, замества липсващата хенодеоксихолева киселина у пациента. Това помага за намаляване на производството на абнормни вещества и способства за нормалната дейност на жлъчката в храносмилателната система, като по този начин се облекчават симптомите на заболяването.

Какви ползи от Хенодеоксихолева киселина Leadiant са установени в проучванията?

Хенодеоксихолева киселина Leadiant е изследван в проучване, което разглежда резултатите на 35 пациенти с церебротендинозна ксантоматоза, които приемат хенодеоксихолева киселина в продължение на около 9 години. При всичките 23 пациенти, за които са налични данни за нивата на жлъчни киселини в кръвта, се наблюдава намаление в нивата (средно намаление 56—69 $\mu\text{mol/l}$). От 14 пациенти, за които са налични данни за нивата на жлъчни киселини в урината, при 79 % (11 от 14) се наблюдават намалени нива в последното им изследване. При повечето пациенти се наблюдава подобрене на симптомите на заболяването: всички съобщават за подобрене при диария, при 89 % от пациентите е установено подобрене в умствените им способности, при 60 % от пациентите е установено подобрене в подвижността, а при 85 и 77 % от пациентите е установено психиатрично подобрене въз основа на два различни резултата.

Какви са рисковете, свързани с Хенодеоксихолева киселина Leadiant?

Нежеланите лекарствени реакции при Хенодеоксихолева киселина Leadiant са запек и абнормни стойности при изследване на черния дроб. Тяхната честота обаче не може да бъде надеждно оценена от наличните ограничени данни. Те са леки или умерени по тежест и краткотрайни.

За списъка на ограниченията вижте листовката.

Защо Хенодеоксихолева киселина Leadiant е разрешен за употреба?

Хенодеоксихолевата киселина се използва за лечение на церебротендинозна ксантоматоза в продължение на около 40 години, макар че не е разрешен за тази употреба. Поради рядкото разпространение на заболяването обаче за употребата на лекарството са налични ограничени данни. Все пак в проучвания е установено, че лекарството е от полза за пациентите и няма значими нежелани лекарствени реакции. Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на Агенцията реши, че ползите от Хенодеоксихолева киселина Leadiant са по-големи от рисковете, и препоръча Хенодеоксихолева киселина Leadiant да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Хенодеоксихолева киселина Leadiant е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Това се дължи на факта, че поради рядкото разпространение на болестта не е било възможно да се получи пълна информация за Хенодеоксихолева киселина Leadiant. Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация се очаква за Хенодеоксихолева киселина Leadiant?

Тъй като Хенодеоксихолева киселина Leadiant е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“, фирмата, която предлага това лекарство, ще създаде регистър за наблюдение на ползите и безопасността на лекарството.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Хенодеоксихолева киселина Leadiant?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Хенодеоксихолева киселина Leadiant, които следва да се спазват от здравните специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Допълнителна информация за Хенодеоксихолева киселина Leadiant:

На 10 април 2017 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Хенодеоксихолева киселина Leadiant, валидно в Европейския съюз. Името на лекарствения продукт е променено на Хенодеоксихолева киселина Leadiant на 12 май 2017 г.

Пълният текст на EPAR за Хенодеоксихолева киселина Leadiant може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. За повече информация относно лечението с Хенодеоксихолева киселина Leadiant прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета за „лекарствата сираци“ за Хенодеоксихолева киселина Leadiant може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Дата на последно актуализиране на текста 06-2017.