



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100673/2016
EMA/H/C/002081

Резюме на EPAR за обществено ползване

Kolbam

cholic acid

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Kolbam. 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 Kolbam.

За практическа информация относно употребата на Kolbam, пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

Какво представлява Kolbam и за какво се използва?

Kolbam е лекарство, което съдържа активното вещество холева киселина (*cholic acid*). Тя представлява „първична жлъчна киселина“, която е основен компонент на жлъчката (течност, произвеждана от черния дроб, която помага за усвояване на мазнините).

Kolbam се прилага като лечение през целия живот при възрастни и деца на възраст над един месец, които не могат да произвеждат достатъчно първични жлъчни киселини като холева киселина поради генетични аномалии и това води до дефицит на следните чернодробни ензими: стерол 27-хидроксилаза, 2-метилацил-CoA рацемаза и холестерол 7 α -хидроксилаза.

Когато първичните жлъчни киселини са недостатъчни, вместо тях организъмът произвежда абнормни жлъчни киселини, които могат да увредят черния дроб и потенциално да доведат до животозастрашаваща чернодробна недостатъчност. Заболяването е известно като вродени грешки в синтеза на първичните жлъчни киселини.

Тъй като броят на пациентите с вродени грешки в синтеза на първичните жлъчни киселини е малък, болестта се счита за „рядка“ и Kolbam е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 28 октомври 2009 г.



Как се използва Kolbam?

Kolbam се отпуска по лекарско предписание, като лечението трябва да бъде започнато и наблюдавано от лекар с опит в лечението на болестите, за които е показан Kolbam.

Kolbam се предлага под формата на капсули (50 и 250 mg). Дневната доза се определя и коригира по време на лечението за всеки пациент, в зависимост от нивата на жлъчните киселини в кръвта и урината на пациента и от чернодробната му функция. Максималната дневна доза не трябва да надвишава 15 mg на килограм телесно тегло.

Kolbam трябва да се приема всеки ден приблизително по едно и също време с храна. При малки деца, които не могат да преглъщат капсули, съдържанието може да се смеси с адаптирано мляко, изцедена кърма, картофено или плодово пюре.

За повече информация вижте листовката.

Как действа Kolbam?

Холевата киселина е една от основните първични жлъчни киселини, произвеждани от черния дроб. Холевата киселина, съдържаща се в Kolbam, замества липсващата холева киселина у пациента. Това помага да се намали производството на абнормни жлъчни киселини и способства за нормалната дейност на жлъчката в храносмилателната система, като по този начин се облекчават симптомите на заболяването.

Какви ползи от Kolbam са установени в проучванията?

Kolbam е изследван в едно основно проучване при 52 пациенти с вродени грешки в синтеза на първичните жлъчни киселини, включително 7 пациенти, които страдат от дефицит на стерол 27-хидроксилаза, 2-метилацил-CoA рацемаза или холестерол 7 α -хидроксилаза. Основните мерки за ефективност са промените в нивата на жлъчните киселини и чернодробните функции преди и след лечението с Kolbam. Ефикасността на Kolbam за разрешените показания е установена въз основа на резултатите от това проучване. Това отговаря на клиничните очаквания и данните от литературата.

Какви са рисковете, свързани с Kolbam?

Нежеланите лекарствени реакции при Kolbam като цяло са с лека до умерена тежест и са преходни. Най-честите нежелани лекарствени реакции (които е възможно да засегнат до 1 на 10 души) са периферна невропатия (увреждане на нервите в ръцете и краката), диария, гадене (позиви за повръщане), киселинен рефлукс (стомашна киселина, навлизаща в устата), езофагит (възпаление на тръбопровода), жълтеница (пожълтяване на кожата и очите), кожни проблеми (лезии) и неразположение (чувство на отпадналост).

Kolbam не трябва да се използва в комбинация с фенobarбитал (лекарство за епилепсия).

За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции и ограничения вижте листовката.

Защо Kolbam е разрешен за употреба?

Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на Агенцията реши, че ползите от Kolbam са по-големи от рисковете, и препоръча Kolbam да бъде разрешен за употреба в ЕС. CHMP заключи, че Kolbam има полезни ефекти при пациенти с дефицити в следните чернодробни ензими: стерол 27-хидроксилаза, 2-метилацил-CoA рацемаза и холестерол 7 α -

хидроксилаза. Относно безопасността нежеланите лекарствени реакции изглеждат нетежки и обратими.

Kolbam 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 Kolbam. Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация се очаква за Kolbam?

Тъй като Kolbam е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“, фирмата, която предлага Kolbam, ще наблюдава ползите и безопасността на Kolbam посредством регистър на пациентите и всяка година ще осигурява актуализации.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Kolbam?

Разработен е план за управление на риска, за да се гарантира, че Kolbam се използва възможно най-безопасно. Въз основа на този план информацията за безопасността е включена в кратката характеристика на продукта и в листовката за Kolbam, включително подходящи предпазни мерки за здравните специалисти и пациентите.

Освен това фирмата, която предлага Kolbam, ще предостави образователен материал с информация за правилната и безопасна употреба на Kolbam на всички лекари, които се очаква да предписват лекарството.

Допълнителна информация може да се намери в [резюме на плана за управление на риска](#)

Допълнителна информация за Kolbam:

На 20 ноември 2015 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Kolbam, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR и резюме на плана за управление на риска за Kolbam 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 Kolbam прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Kolbam може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Дата на последно актуализиране на текста 02-2016.