



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/572393/2013
EMA/H/C/001250

Резюме на EPAR за обществено ползване

Orphacol

cholic acid

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

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

Какво представлява Orphacol и за какво се използва?

Orphacol е лекарство, съдържащо холева киселина (*cholic acid*), вещество, откриващо се в жлъчката, което се използва при храносмилане на мазнини.

Лекарството се прилага при лечение на възрастни и деца над един месец, страдащи от генетична аномалия, която ги прави неспособни да произвеждат жлъчка. Orphacol се използва при пациенти, които страдат от недостиг на два специфични чернодробни ензима (3- β -хидрокси- Δ^5 -C₂₇-стероид оксиредуктаза или Δ^4 -3-оксостероид-5 β -редуктаза). Това води до неспособност на черния дроб да произвежда достатъчно количество от главните компоненти на жлъчката, наричани първични жлъчни киселини, като холева киселина. Когато тези първични жлъчни киселини липсват, вместо тях тялото произвежда аномални жлъчни киселини, които могат да увредят черния дроб и потенциално да доведат до животозастрашаваща чернодробна недостатъчност.

Тъй като броят на пациентите с вродени грешки в синтеза на първичните жлъчни киселини е малък, болестта се счита за „рядка“ и Orphacol е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 18 декември 2002 г.



Как се използва Orphacol?

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание и лечението с Orphacol следва да се започне и да се наблюдава от лекар с опит в областта на чернодробните болести.

Orphacol се предлага под формата на капсули и трябва да се приема с храна всеки ден в приблизително едно и също време. Дневната доза е между 5 и 15 mg на килограм телесно тегло и се коригира за всеки пациент съгласно състоянието на жлъчната киселина, като минималната дневна доза е 50 mg, а максималната – 500 mg. При малки деца, които не могат да гълтат капсули, съдържанието може да се добави към адаптирано мляко или сок. Лечението трябва да се прекрати, ако чернодробната функция не се подобри в рамките на три месеца.

Как действа Orphacol?

Холевата киселина е основната първична жлъчна киселина, произвеждана от черния дроб. Холевата киселина, съдържаща се в Orphacol, заменя липсващата в организма на пациента холева киселина. Това помага да се намали производството на анормални жлъчни киселини и допринася за нормалната дейност на жлъчката в храносмилателната система, като по този начин облекчава симптомите на заболяването.

Какви ползи от Orphacol са установени в проучванията?

Тъй като холевата киселина е добре познато вещество и неговата употреба при тези дефицити на ензими е добре установена, заявителят представя данни от научната литература. Заявителят представя данни за 49 пациенти с вродени грешки в синтеза на първичните жлъчни киселини, взети от научната литература (38 пациенти с дефицит на 3 β -хидрокси- Δ 5-C27-стероид оксиредуктаза и 11 пациенти с дефицит на Δ 4-3-оксостероид-5 β -редуктаза). Той сравнява резултатите при 28 пациенти, приемали холева киселина, с тези при други пациенти, които са приемали различни жлъчни киселини или не са приемали лечение с жлъчни киселини.

В научната литература е доказано, че лечението с холева киселина намалява количеството анормални жлъчни киселини при пациентите, възстановява нормалните функции на черния дроб и помага да се забави или предотврати необходимостта от трансплантация на черен дроб.

Какви са рисковете, свързани с Orphacol?

Нежеланите лекарствени реакции, наблюдавани при Orphacol, са диария, пруритус (сърбеж), повишени стойности на трансаминазите (чернодробни ензими) и вероятно жлъчни камъни, макар че тяхната честота не може да бъде надеждно оценена от наличните ограничени данни.

Orphacol не трябва да се използва от лица, които са свръхчувствителни (алергични) към холева киселина или някоя от другите съставки. Той не трябва да се приема от пациенти, които вече приемат фенобарбитал, лекарство, използвано за лечение на епилепсия.

Защо Orphacol е разрешен за употреба?

Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) отбелязва, че употребата на холева киселина за лечение на вродени грешки в синтеза на първичните жлъчни киселини е добре наложена в медицинската практика и документирана в научната литература, въпреки че броят на документираните случаи е малък, поради рядкото разпространение на болестта. Комитетът реши, че въз основа на доказателствата от научната литература ползите от Orphacol са повече от рисковете, и препоръча да се издаде разрешение за употреба.

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

Каква информация се очаква за Orphacol?

Тъй като Orphacol е разрешен за употреба при извънредни обстоятелства, фирмата, която предлага Orphacol, ще създаде база данни относно пациентите, лекувани с Orphacol, за да следи безопасността и ефективността на лечението и ще предоставя резултатите на CHMP на периодични, определени интервали.

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

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

Фирмата, която произвежда Orphacol, ще осигури на лекарите във всички държави членки, които ще използват Orphacol, пакет, съдържащ литература за продукта и информация относно правилното диагностициране на тези заболявания, рисковете от нежелани лекарствени реакции и как да се използва правилно лекарството.

Допълнителна информация за Orphacol

На 12 септември 2013 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Orphacol, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR за Orphacol 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 Orphacol прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Orphacol може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Дата на последно актуализиране на текста 09-2013.