



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Orphacol

acidum cholicum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Orphacol. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky použití. Účelem tohoto dokumentu není poskytovat praktické rady o tom, jak přípravek Orphacol používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Orphacol, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

Co je Orphacol a k čemu se používá?

Orphacol je léčivý přípravek obsahující kyselinu cholovou, látku nacházející se v žluči, která je zapotřebí k trávení tuků.

Používá se k léčbě dospělých i dětí od jednoho měsíce věku s genetickou poruchou, která jim znemožňuje tvořit žluč. Přípravek Orphacol se používá u pacientů s nedostatkem dvou konkrétních jaterních enzymů (3 β -hydroxy- Δ^5 -C₂₇-steroid oxidoreduktázy nebo Δ^4 -3-oxosteroid-5 β -reduktázy). V důsledku toho nejsou jejich játra schopna vytvářet dostatek hlavních složek žluči nazývaných primární žlučové kyseliny, jako je kyselina cholová. Pokud chybějí tyto primární žlučové kyseliny, vytváří tělo místo nich abnormální žlučové kyseliny, které mohou poškodit játra a případně hrozí i selhání jater ohrožující život.

Jelikož počet pacientů s vrozenou poruchou syntézy primárních žlučových kyselin je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Orphacol byl dne 18. prosince 2002 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Jak se přípravek Orphacol používá?

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit a sledovat lékař specializovaný na onemocnění jater.



Přípravek Orphacol je k dispozici ve formě tobolek a měl by se užívat každý den přibližně ve stejnou dobu spolu s jídlem. Denní dávka činí 5 až 15 mg na kg tělesné hmotnosti, přičemž pro každého pacienta se upravuje podle stavu jeho žlučových kyselin. Minimální denní dávka činí 50 mg a maximální 500 mg. U malých dětí, které nejsou schopny tobolek polknout, je možné obsah tobolek smístit s dětskou výživou nebo s džusem. Pokud se během tří měsíců funkce jater nezlepší, léčba by měla být ukončena.

Jak přípravek Orphacol působí?

Kyselina cholová je hlavní primární žlučová kyselina, která se tvoří v játrech. Kyselina cholová obsažená v přípravku Orphacol nahrazuje u pacienta chybějící kyselinu cholovou. To pomáhá snižovat tvorbu abnormálních žlučových kyselin a přispívá k normální činnosti žluči v trávicí soustavě a tím ke zmírnění příznaků onemocnění.

Jaké přínosy přípravku Orphacol byly prokázány v průběhu studií?

Jelikož kyselina cholová je dobře známá látka a její použití u deficeince (nedostatku) uvedených enzymů je dobře zavedeno, žadatel předložil údaje z vědecké literatury. Žadatel předložil údaje o 49 pacientech s vrozenou poruchou syntézy primárních žlučových kyselin získané z vědecké literatury (38 pacientů s nedostatkem 3 β -hydroxy- Δ^5 -C₂₇-steroid oxidoreduktázy a 11 pacientů s nedostatkem Δ^4 -3 oxosteroid-5 β -reduktázy). Porovnal výsledky 28 pacientů, jimž byla podávána kyselina cholová, s výsledky jiných pacientů, kterým byly podávány jiné žlučové kyseliny nebo kteří nebyli žlučovými kyselinami léčeni vůbec.

Podle vědecké literatury léčba kyselinou cholovou snižuje u pacientů množství abnormálních žlučových kyselin, obnovuje normální funkce jater a pomáhá oddalovat nutnost transplantace jater nebo jí předchází.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Orphacol?

Nežádoucími účinky zaznamenanými u přípravku Orphacol byly průjem, pruritus (svědění), zvýšené hodnoty transamináz (jaterních enzymů) a případně tvorba žlučových kamenů, ačkoli jejich frekvenci nelze na základě omezeného množství dostupných údajů spolehlivě stanovit.

Přípravek Orphacol by neměly užívat osoby s možnou přecitlivělostí (alergií) na kyselinu cholovou nebo na kteroukoli další složku tohoto přípravku. Přípravek nesmějí užívat ani pacienti, kteří již užívají fenobarbital, lék používaný k léčbě epilepsie.

Na základě čeho byl přípravek Orphacol schválen?

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) konstatoval, že použití kyseliny cholové k léčbě vrozené poruchy syntézy primárních žlučových kyselin je v lékařské praxi dobře zavedeno a je také dobře zdokumentováno ve vědecké literatuře, ačkoli vzhledem ke vzácnosti onemocnění je počet zdokumentovaných případů nízký. Výbor CHMP na základě údajů z vědecké literatury rozhodl, že přínosy přípravku Orphacol převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby přípravku bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

Přípravek Orphacol byl registrován za „výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění nebylo možné o přípravku Orphacol získat úplné informace. Evropská agentura pro léčivé přípravky každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace a tento souhrn bude podle potřeby aktualizován.

Jaké informace o přípravku Orphacol nebyly dosud předloženy?

Jelikož přípravek Orphacol byl schválen za výjimečných okolností, společnost, která přípravek Orphacol dodává na trh, vytvoří databázi pacientů léčených přípravkem Orphacol za účelem monitorování bezpečnosti a účinnosti léčby a výsledky bude v pravidelných, stanovených intervalech předkládat výboru CHMP.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Orphacol?

K zajištění co nejbezpečnějšího používání přípravku Orphacol byl vypracován plán řízení rizik. Na základě tohoto plánu byly do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace přípravku Orphacol zahrnuty informace o bezpečnosti, včetně příslušných opatření, která by měli dodržovat zdravotničtí pracovníci a pacienti.

Výrobce přípravku Orphacol také poskytne lékařům ve všech členských státech, kteří používají přípravek Orphacol, balíček obsahující literaturu o přípravku i informace týkající se správné diagnostiky tohoto typu onemocnění, rizik nežádoucích účinků a správného způsobu používání tohoto přípravku.

Další informace o přípravku Orphacol

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Orphacol platné v celé Evropské unii dne 12. září 2013.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Orphacol je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Další informace o léčbě přípravkem Orphacol naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo kontaktujte svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Orphacol vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ma.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ma.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 09-2013.