



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100675/2016
EMA/H/C/002081

EPAR - sammendrag for offentligheden

Kolbam cholsyre

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Kolbam. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Kolbam bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Kolbam, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Kolbam, og hvad anvendes det til?

Kolbam er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof cholsyre. Dette er en "primær galdesyre", som er en hovedbestanddel i galden (den væske, der produceres af leveren og medvirker til fordøjelse af fedtstoffer).

Kolbam er godkendt til livslang behandling af voksne og børn fra 1-månedes-alderen, der ikke producerer tilstrækkeligt med primære galdesyrrer såsom cholsyre på grund af visse genetiske abnormiteter, der medfører mangel på følgende leverenzym: sterol-27-hydroxylase, 2-methylacyl-CoA-racemase eller kolesterol 7 α -hydroxylase.

Når primære galdesyrrer mangler, producerer kroppen i stedet abnorme galdesyrrer, som kan skade leveren og eventuelt medføre livstruende leversvigt. Dette kaldes "medfødte fejl i syntesen af primære galdesyrrer".

Da antallet af patienter med medfødte fejl i syntesen af primære galdesyrrer er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Kolbam blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 28. oktober 2009.



Hvordan anvendes Kolbam?

Kolbam fås kun på recept, og behandlingen bør iværksættes og overvåges af en læge med speciale i behandling af de sygdomme, som Kolbam anvendes til.

Kolbam fås som kapsler (50 og 250 mg). Den daglige dosis vælges og tilpasses under behandlingen til den enkelte patient, afhængigt af patientens indhold af galdesyre i blodet og i urinen og leverfunktion. Den maksimale daglige dosis bør ikke overstige 15 mg/kg legemsvægt.

Kolbam bør tages på omtrent samme klokkeslæt hver dag sammen med et måltid. Til små børn, som ikke kan synke kapsler, kan indholdet blandes i modermælkserstatning, udmalket modermælk, kartoffelmos eller frugtmos.

De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

Hvordan virker Kolbam?

Cholsyre er en af de vigtigste primære galdesyre, der produceres af leveren. Cholsyre i Kolbam erstatter patientens manglende cholsyre. Dette nedsætter produktionen af abnorme galdesyre og fremmer galdens normale funktion i fordøjelsessystemet, hvorved sygdomssymptomerne mindskes.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Kolbam?

Kolbam er undersøgt i én hovedundersøgelse med 52 patienter med medfødte fejl i syntesen af primære galdesyre, herunder 7 patienter med mangel på enten sterol-27-hydroxylase, 2-methylacyl-CoA-racemase eller kolesterol-7 α -hydroxylase. Det vigtigste mål for virkningen var ændringen i indholdet af galdesyre og leverfunktionen før og efter behandling med Kolbam. Virkningen af Kolbam ved de godkendte indikationer kunne fastslås på grundlag af denne undersøgelses resultater. Dette var samstemmende med de kliniske forventninger og oplysninger fra litteraturen.

Hvilke risici er der forbundet med Kolbam?

Bivirkninger ved Kolbam er sædvanligvis lette til moderate og forbigående. De almindeligste bivirkninger (som kan forekomme hos op til 1 ud af hver 10 personer) er nervebeskadigelse i hænder og fødder (perifer neuropati), diarré, kvalme, sure opstød (reflukt), betændelse i spiserøret (esophagitis), gulsot af hud og øjne (ikterus), hudforandringer og utilpashed.

Kolbam må ikke anvendes i kombination med phenobarbital (et lægemiddel mod epilepsi).

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger med Kolbam fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor er Kolbam blevet godkendt?

Agenturets Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) konkluderede, at fordelene ved Kolbam opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU. CHMP konkluderede, at Kolbam har gavnlig virkning hos patienter med mangel på følgende leverenzym: sterol-27-hydroxylase, 2-methylacyl-CoA-racemase og kolesterol-7 α -hydroxylase. Vedrørende sikkerheden syntes bivirkningerne at være af mindre alvorlig karakter og forbigående.

Kolbam er godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Kolbam, fordi sygdommen er sjælden. Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt dette sammendrag.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Kolbam?

Da Kolbam er godkendt under særlige betingelser, skal den virksomhed, der markedsfører Kolbam, overvåge fordelene og sikkerheden af Kolbam gennem et patientregister og indsende årlige ajourføringer.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Kolbam?

Der er udarbejdet en risikostyringsplan for at sikre, at Kolbam anvendes så sikkert som muligt. På baggrund af denne er der anført sikkerhedsoplysninger i produktresuméet og indlægssedlen for Kolbam, herunder passende forholdsregler, som sundhedspersonale og patienter skal følge.

Desuden skal den virksomhed, der markedsfører Kolbam, udlevere informationsmateriale om korrekt og sikker anvendelse af Kolbam til alle læger, der forventes at ordinere lægemidlet.

Yderligere oplysninger fremgår af [resuméet af risikostyringsplanen](#).

Andre oplysninger om Kolbam

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Kolbam den 20. november 2015.

Den fuldstændige EPAR og resuméet af risikostyringsplanen for Kolbam findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Kolbam, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Kolbam findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 02-2016.