



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

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Chenodesoxycholsäure Leadiant¹

Chenodesoxycholsäure

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Chenodesoxycholsäure Leadiant. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Chenodesoxycholsäure Leadiant zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Chenodesoxycholsäure Leadiant benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Was ist Chenodesoxycholsäure Leadiant und wofür wird es angewendet?

Chenodesoxycholsäure Leadiant ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Chenodesoxycholsäure enthält. Diese ist eine „primäre Gallensäure“. Sie ist ein Hauptbestandteil des Gallensekrets (einer von der Leber produzierten Flüssigkeit, die bei der Verdauung von Fetten hilft).

Chenodesoxycholsäure Leadiant wird zur Behandlung von Erwachsenen und Kindern ab einem Alter von einem Monat mit zerebrotendinöser Xanthomatose angewendet. Diese Patienten sind aufgrund genetischer Anomalien, die zu einem Mangel des Leberenzyms Sterol-27-Hydroxylase führen, nicht in der Lage, hinreichend von der primären Gallensäure Chenodesoxycholsäure zu produzieren. Wenn primäre Gallensäuren fehlen, bildet der Körper stattdessen anormale Gallensäuren und andere Stoffe, die sich im gesamten Körper anhäufen und zu Schäden führen.

Da es nur wenige Patienten mit dieser Erkrankung gibt, gilt die Krankheit als selten, und Chenodesoxycholsäure Leadiant wurde am 16. Dezember 2014 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

¹ Früher bekannt als Chenodesoxycholsäure sigma-tau.



Chenodesoxycholsäure Leadiant ist ein „Hybridarzneimittel“. Dies bedeutet, dass es einem „Referenzarzneimittel“ ähnlich ist, das den gleichen Wirkstoff enthält. Das Referenzarzneimittel für Chenodesoxycholsäure Leadiant ist Xenbilox. Allerdings unterscheidet sich Xenbilox von Chenodesoxycholsäure Leadiant insofern, als dass es für ein anderes Anwendungsgebiet (zur Auflösung von Gallensteinen) zugelassen ist.

Wie wird Chenodesoxycholsäure Leadiant angewendet?

Chenodesoxycholsäure Leadiant ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und die Behandlung sollte von einem Arzt mit Erfahrung in der Behandlung von zerebrotendinöser Xanthomatose oder anderen Störungen der Bildung primärer Gallensäure eingeleitet und überwacht werden.

Chenodesoxycholsäure Leadiant ist als Kapseln (250 mg) erhältlich, die dreimal täglich immer etwa zur selben Zeit eingenommen werden. Die tägliche Dosis wird für jeden einzelnen Patienten je nach Alter, Leberfunktion und den Gallensäurespiegeln des Patienten im Blut und Urin ausgewählt und während der Behandlung angepasst. Bei Kleinkindern und Kindern, die Kapseln nicht schlucken können, kann der Inhalt der Kapseln mit einer 8,4-prozentigen Natriumbicarbonat-Lösung vermischt werden, um eine Flüssigkeit herzustellen.

Nähere Informationen sind der Packungsbeilage zu entnehmen.

Wie wirkt Chenodesoxycholsäure Leadiant?

Chenodesoxycholsäure ist eine der wichtigsten primären Gallensäuren, die von der Leber produziert werden. Die in diesem Arzneimittel enthaltene Chenodesoxycholsäure ersetzt die fehlende Chenodesoxycholsäure des Patienten. Dies hilft, die Produktion von anomalen Stoffen zu reduzieren, und trägt zur normalen Aktivität der Galle im Verdauungssystem bei und lindert somit die Symptome der Krankheit.

Welchen Nutzen hat Chenodesoxycholsäure Leadiant in den Studien gezeigt?

Chenodesoxycholsäure Leadiant wurde in einer Studie untersucht, in der die Aufzeichnungen zu 35 Patienten mit zerebrotendinöser Xanthomatose, die Chenodesoxycholsäure über etwa neun Jahre erhalten hatten, überprüft wurden. Alle der 23 Patienten, für die Daten zu den Blutspeigeln von Gallensäuren verfügbar waren, zeigten Senkungen bei ihren Spiegeln (durchschnittliche Senkung von 56-69 µmol/l). Von den 14 Patienten, für die Daten zu den Gallensäurespiegeln im Urin verfügbar waren, wiesen 79 % (11 von 14) bei den aktuellsten Untersuchungen reduzierte Spiegel auf. Die meisten Patienten zeigten auch Verbesserungen bei den Symptomen der Krankheit: alle berichteten über eine Verbesserung beim Durchfall, 89 % der Patienten wiesen Verbesserungen ihrer psychischen Leistungsfähigkeit auf, 60 % der Patienten zeigten Verbesserungen der Mobilität und 85 % und 77 % der Patienten wiesen beruhend auf zwei verschiedenen Werten psychische Verbesserungen auf.

Welche Risiken sind mit Chenodesoxycholsäure Leadiant verbunden?

Die im Zusammenhang mit Chenodesoxycholsäure Leadiant beobachteten Nebenwirkungen sind Obstipation (Verstopfung) und abnormale Werte bei Leberfunktionstests; allerdings konnte die Häufigkeit anhand der verfügbaren begrenzten Daten nicht zuverlässig bestimmt werden. Sie waren leicht oder mittelschwer und dauerten nicht an.

Die vollständige Auflistung der Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Warum wurde Chenodesoxycholsäure Leadiant zugelassen?

Chenodesoxycholsäure wird seit etwa 40 Jahren zur Behandlung von zerebrotendinöser Xanthomatose angewendet, obwohl es für dieses Anwendungsgebiet über keine Zulassung verfügte. Allerdings sind die verfügbaren Daten zur Anwendung des Arzneimittels aufgrund der Seltenheit der Krankheit noch immer begrenzt. Nichtsdestotrotz haben Studien gezeigt, dass das Arzneimittel einen Nutzen für Patienten und keine bedeutenden Nebenwirkungen hat. Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Chenodesoxycholsäure Leadiant gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen.

Chenodesoxycholsäure Leadiant wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über Chenodesoxycholsäure Leadiant zu erlangen. Die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA) wird jedes Jahr sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar werden, und die vorliegende Zusammenfassung wird gegebenenfalls aktualisiert.

Welche Informationen werden für Chenodesoxycholsäure Leadiant noch erwartet?

Da Chenodesoxycholsäure Leadiant unter außergewöhnlichen Umständen zugelassen wurde, wird das Unternehmen, das dieses Arzneimittel in den Verkehr bringt, ein Register zur Überwachung von Nutzen und Sicherheit des Arzneimittels erstellen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Chenodesoxycholsäure Leadiant ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Chenodesoxycholsäure Leadiant, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Weitere Informationen über Chenodesoxycholsäure Leadiant

Am 10. April 2017 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Chenodesoxycholsäure sigma-tau in der gesamten Europäischen Union. Am 12. Mai 2017 wurde der Handelsname des Arzneimittels in Chenodesoxycholsäure Leadiant geändert.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Chenodesoxycholsäure Leadiant finden Sie auf der Website der Agentur: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Chenodesoxycholsäure Leadiant benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Chenodesoxycholsäure Leadiant finden Sie auf der Website der Agentur: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 06-2017 aktualisiert.