



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100676/2016  
EMA/H/C/002081

## Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

---

### Kolbam Cholsäure

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Kolbam. 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 Kolbam zu verstehen.

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

#### Was ist Kolbam und wofür wird es angewendet?

Kolbam ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Cholsäure 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).

Kolbam ist zur lebenslangen Behandlung von Erwachsenen und Kindern ab einem Alter von einem Monat zugelassen, die nicht ausreichend primäre Gallensäuren wie Cholsäure bilden können, weil bei Ihnen bestimmte genetische Anomalien vorliegen, die zu einem Mangel an folgenden Leberenzymen führen: Sterol-27-Hydroxylase, 2-Methylacyl-CoA-Racemase oder Cholesterol-7 $\alpha$ -Hydroxylase.

Bei einem Mangel an primären Gallensäuren bildet der Körper stattdessen anomale Gallensäuren, welche die Leber schädigen und potenziell zu einem lebensbedrohlichen Leberversagen führen können. Die Krankheit wird als „angeborene Störungen der Synthese primärer Gallensäuren“ bezeichnet.

Da es nur wenige Patienten mit angeborenen Störungen der Synthese primärer Gallensäuren gibt, gilt die Krankheit als selten, und Kolbam wurde am 28. Oktober 2009 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.



## Wie wird Kolbam angewendet?

Kolbam ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und die Behandlung sollte von einem Facharzt für die mit Kolbam zu behandelnden Krankheiten eingeleitet und überwacht werden.

Kolbam ist als Kapseln (50 mg und 250 mg) erhältlich. Die tägliche Dosis wird für jeden einzelnen Patienten je nach den Gallensäurespiegeln des Patienten im Blut und Urin und der Leberfunktion ausgewählt und während der Behandlung angepasst. Die Tageshöchstdosis sollte 15 mg pro Kilogramm Körpergewicht nicht überschreiten.

Kolbam sollte täglich zur ungefähr gleichen Uhrzeit zu einer Mahlzeit eingenommen werden. Für kleine Kinder, die keine Kapseln schlucken können, kann der Inhalt in Säuglingsnahrung, abgepumpte Muttermilch, zerdrückte Kartoffeln oder Fruchtpüree gegeben werden.

Nähere Informationen sind der Packungsbeilage zu entnehmen.

## Wie wirkt Kolbam?

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

## Welchen Nutzen hat Kolbam in den Studien gezeigt?

Kolbam wurde in einer Hauptstudie untersucht, an der 52 Patienten mit angeborenen Störungen der Synthese primärer Gallensäuren teilnahmen, einschließlich 7 Patienten mit Mangel an entweder Sterol-27-Hydroxylase, 2-Methylacyl-CoA-Racemase oder Cholesterol-7 $\alpha$ -Hydroxylase. Die Hauptindikatoren für die Wirksamkeit waren die Veränderungen der Gallensäurespiegel und der Leberfunktion vor und nach der Behandlung mit Kolbam. Die Wirksamkeit von Kolbam für die zugelassenen Indikationen wurde aufgrund der Ergebnisse dieser Studie festgestellt. Dies stimmte mit den klinischen Erwartungen und den Daten aus der Literatur überein.

## Welche Risiken sind mit Kolbam verbunden?

Die Nebenwirkungen im Zusammenhang mit Kolbam sind im Allgemeinen von leichtem bis mittlerem Schweregrad und vorübergehend. Sehr häufige Nebenwirkungen von Kolbam (die bis zu 1 von 10 Personen betreffen können) sind periphere Neuropathie (Nervenschäden in Händen und Füßen), Durchfall, Nausea (Übelkeit), Sodbrennen (Rückfluss von Magensäure bis in den Mund), Ösophagitis (Entzündung der Speiseröhre), Gelbsucht (Gelbfärbung von Haut und Augen), Hautprobleme (Läsionen) und Unwohlsein.

Kolbam darf nicht zusammen mit Phenobarbital (ein Arzneimittel zur Behandlung von Epilepsie) angewendet werden.

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Kolbam berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

## Warum wurde Kolbam zugelassen?

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Kolbam gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen. Der CHMP gelangte zu dem Schluss, dass Kolbam bei Patienten mit einem Mangel der

folgenden Leberenzyme eine nützliche Wirkung hat: Sterol-27-Hydroxylase, 2-Methylacyl-CoA-Racemase und Cholesterol-7 $\alpha$ -Hydroxylase. In Bezug auf die Sicherheit ist festzustellen, dass die Nebenwirkungen nicht schwerwiegend und reversibel zu sein schienen.

Kolbam wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über Kolbam 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 Kolbam noch erwartet?**

Da Kolbam unter außergewöhnlichen Umständen zugelassen wurde, wird das Unternehmen, das Kolbam in Verkehr bringt, den Nutzen und die Sicherheit von Kolbam mithilfe eines Patientenregisters überwachen und jährlich Aktualisierungen bereitstellen.

### **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Kolbam ergriffen?**

Es wurde ein Risikomanagementplan entwickelt, um sicherzustellen, dass Kolbam so sicher wie möglich angewendet wird. Auf der Grundlage dieses Plans wurden Sicherheitsinformationen in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage für Kolbam aufgenommen, einschließlich geeigneter Vorsichtsmaßnahmen für Angehörige der Heilberufe und Patienten.

Darüber hinaus wird das Unternehmen, das Kolbam in Verkehr bringt, allen Ärzten, die erwartungsgemäß dieses Arzneimittel verschreiben werden, Schulungsmaterialien mit Informationen zur korrekten und sicheren Anwendung von Kolbam bereitstellen.

Nähere Informationen sind in der [Zusammenfassung des Risikomanagementplans](#) enthalten.

### **Weitere Informationen über Kolbam**

Am 20. November 2015 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Zostavax in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR und die Zusammenfassung des Risikomanagementplans für Kolbam finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Kolbam 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 Kolbam finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 02-2016 aktualisiert.