



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Chenodeoxycholic acid Lediand¹

acidum chenodeoxycholicum

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

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

Co je Chenodeoxycholic acid Lediand a k čemu se používá?

Chenodeoxycholic acid Lediand je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku kyselinu chenodeoxycholovou. Jedná se o „primární žlučovou kyselinu“, která je hlavní složkou žluči (tekutiny tvořené v játrech, která se podílí na trávení tuků).

Přípravek Chenodeoxycholic acid Lediand se používá k léčbě dospělých a dětí od jednoho měsíce věku s cerebrotendinózní xantomatózou. Tito pacienti nemohou vytvářet dostatečné množství primární žlučové kyseliny, kyseliny chenodeoxycholové, v důsledku genetických odchylek, které vedou k nedostatku jaterního enzymu sterol 27-hydroxylázy. Pokud tělo nemá dostatek primárních žlučových kyselin, vytváří místo nich abnormální žlučové kyseliny a další látky, které se hromadí v celém těle a vedou k poškození.

Jelikož počet pacientů s tímto onemocněním je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Chenodeoxycholic acid Lediand byl dne 16. prosince 2014 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

¹ Dříve známý pod názvem Chenodeoxycholic acid sigma-tau.



Přípravek Chenodeoxycholic acid Leadiant je „hybridní léčivý přípravek“. Znamená to, že je obdobou „referenčního léčivého přípravku“, který obsahuje stejnou léčivou látku. Referenčním léčivým přípravkem přípravku Chenodeoxycholic acid Leadiant je přípravek Xenbilox. Přípravek Xenbilox se od přípravku Chenodeoxycholic acid Leadiant nicméně liší tím, že je schválen pro jiné použití (k rozpuštění cholesterolových žlučnickových kamenů).

Jak se přípravek Chenodeoxycholic acid Leadiant používá?

Výdej přípravku Chenodeoxycholic acid Leadiant je vázán na lékařský předpis. Léčba by měla být zahájena a sledována lékařem, který má zkušenosti s léčbou cerebrotendinózní xantomatózy nebo jiných poruch tvorby primárních žlučových kyselin.

Přípravek Chenodeoxycholic acid Leadiant je k dispozici ve formě tobolek (250 mg), které se užívají třikrát denně každý den přibližně ve stejnou dobu. Denní dávka se u každého pacienta zvolí a upravuje v průběhu léčby v závislosti na věku pacienta, jeho funkci jater a hladinách žlučových kyselin v krvi a moči. V případě malých dětí a dětí, které nejsou schopny tobolky spolknout, lze obsah tobolek smíchat s 8,4% roztokem jedlé sody, čímž se vytvoří tekutina.

Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

Jak přípravek Chenodeoxycholic acid Leadiant působí?

Kyselina chenodeoxycholová je jednou z hlavních primárních žlučových kyselin tvořených v játrech. Kyselina chenodeoxycholová obsažená v tomto léčivém přípravku nahrazuje u pacienta chybějící kyselinu chenodeoxycholovou. To napomáhá snižovat tvorbu abnormálních látek a přispívá k normální činnosti žluči v trávicím systému, čímž dochází k úlevě od příznaků onemocnění.

Jaké přínosy přípravku Chenodeoxycholic acid Leadiant byly prokázány v průběhu studií?

Přípravek Chenodeoxycholic acid Leadiant byl zkoumán ve studii, která zkoumala záznamy 35 pacientů s cerebrotendinózní xantomatózou užívajících kyselinu chenodeoxycholovou po dobu přibližně 9 let. Záznamy o hladině žlučových kyselin v krvi byly k dispozici u 23 pacientů. U všech těchto pacientů došlo ke snížení této hladiny (průměrný pokles o 56–69 $\mu\text{mol/l}$). U 14 pacientů byly k dispozici záznamy o hladinách žlučových kyselin v moči, přičemž u 79 % (11 ze 14) z nich byly v posledním testu zaznamenány snížené hladiny. U většiny pacientů rovněž došlo ke zmírnění příznaků onemocnění: všichni pacienti uvedli zmírnění průjmu, u 89 % pacientů bylo zaznamenáno zlepšení duševních schopností, u 60 % pacientů zlepšení pohyblivosti a u 85 % a 77 % pacientů psychiatrické zlepšení (na základě dvou různých bodových hodnocení).

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Nežádoucími účinky přípravku Chenodeoxycholic acid Leadiant jsou zácpa a abnormální výsledky jaterních testů. Jejich četnost však z dostupných omezených údajů nelze spolehlivě odhadnout. Nežádoucí účinky byly mírné nebo středně závažné povahy a nepřetrvávaly.

Úplný seznam omezení je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Chenodeoxycholic acid Leadiant schválen?

Kyselina chenodeoxycholová se používá k léčbě cerebrotendinózní xantomatózy přibližně 40 let, i když toto použití není schváleno. Vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění jsou však o používání

tohoto léčivého přípravku k dispozici pouze omezené údaje. Ze studií však vyplynulo, že přípravek je pro pacienty přínosný a nemá žádné významné nežádoucí účinky. Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury proto rozhodl, že přínosy přípravku Chenodeoxycholic acid Leadiant převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby byl schválen k použití v EU.

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

Jaké informace o přípravku Chenodeoxycholic acid Leadiant nebyly dosud předloženy?

Jelikož přípravek Chenodeoxycholic acid Leadiant byl schválen za výjimečných okolností, společnost, která přípravek Chenodeoxycholic acid Leadiant dodává na trh, zřídí registr pro sledování přínosů a bezpečnosti tohoto léčivého přípravku.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Chenodeoxycholic acid Leadiant, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Další informace o přípravku Chenodeoxycholic acid Leadiant

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Chenodeoxycholic acid sigma-tau platné v celé Evropské unii dne 10. dubna 2017. Název tohoto léčivého přípravku se dne 12. května 2017 změnil na Chenodeoxycholic acid Leadiant.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Chenodeoxycholic acid Leadiant 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 Chenodeoxycholic acid Leadiant naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

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

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 06-2017.