



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

EPAR - sammendrag for offentligheden

Chenodeoxycholic acid Lediand¹

chenodeoxycholsyre

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Chenodeoxycholic acid Lediand. 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 Chenodeoxycholic acid Lediand bør anvendes.

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

Hvad er Chenodeoxycholic acid Lediand, og hvad anvendes det til?

Chenodeoxycholic acid Lediand er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof chenodeoxycholsyre. Dette er en "primær galdesyre", som er en hovedbestanddel i galden (den væske, der produceres af leveren og medvirker ved fordøjelsen af fedtstoffer).

Chenodeoxycholic acid Lediand anvendes til behandling af voksne og børn fra 1-månedensalderen og derover med cerebrotendinøs xanthomatose. Disse patienter kan ikke producere nok af den primære galdesyre (chenodeoxycholsyre) på grund af genetiske afvigelser og mangler derfor leverenzymet sterol-27-hydroxylase. Når der ingen galdesyre er, producerer kroppen i stedet anormale galdesyrer og andre stoffer, som ophober sig i kroppen og forvolder skade.

Da antallet af patienter med denne sygdom er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Chenodeoxycholic acid Lediand blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 16. december 2014.

¹ Tidligere kendt som Chenodeoxycholic acid sigma-tau.



Chenodeoxycholic acid Leadiant er et "hybridt lægemiddel". Det betyder, at det svarer til et "referencelægemiddel", som indeholder det samme aktive stof. Referencelægemidlet for Chenodeoxycholic acid Leadiant er Xenbilox. Xenbilox adskiller sig imidlertid fra Chenodeoxycholic acid Leadiant ved at være godkendt til en anden anvendelse (opløsning af galdesten).

Hvordan anvendes Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Chenodeoxycholic acid Leadiant udleveres kun efter recept, og behandlingen bør indledes og overvåges af en læge med erfaring i behandling af cerebrotendinøs xantomatose eller andre sygdomme med nedsat produktion af primære galdesyre.

Chenodeoxycholic acid Leadiant fås som kapsler (250 mg), der tages 3 gange dagligt på nogenlunde samme tidspunkt hver dag. Den daglige dosis fastsættes og justeres under behandlingen for hver enkelt patient, alt efter dennes alder, leverfunktion og galdesyreniveau i blod og urin. For små børn og børn, der ikke kan sluge kapsler, kan indholdet af kapslerne blandes i en natriumbikarbonatopløsning 8,4 %, så man opnår en væske.

De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

Hvordan virker Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Chenodeoxycholic acid Leadiant er en af de vigtigste primære galdesyre, der produceres af leveren. Chenodeoxycholsyren i dette lægemiddel erstatter patientens manglende chenodeoxycholsyre. Derved nedsættes produktionen af unormale stoffer, og galdens normale aktivitet i fordøjelsessystemet fremmes, så sygdommens symptomer lindres.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Chenodeoxycholic acid Leadiant er blevet vurderet i en undersøgelse, hvor man så på journalerne fra 35 patienter med cerebrotendinøs xantomatose, der fik chenodeoxycholsyre i ca. 9 år. Blandt 23 patienter, hvis data om galdesyreniveau i blodet var tilgængelige, sås en reduktion hos alle (gennemsnitlig reduktion på 56-69 µmol/l). Blandt 14 patienter, hvis data om galdesyreniveau i urinen var tilgængelige, sås en reduktion hos 79 % (11 ud af 14) i de seneste test. Hos de fleste patienter sås også en lindring af sygdommens symptomer: Alle rapporterede om mindre forekomst af diarré, 89 % af patienterne opnåede bedre mentale evner, 60 % opnåede større mobilitet, og i henhold til to forskellige scorer havde 85 % og 77 % af patienterne fået det bedre psykisk.

Hvilke risici er der forbundet med Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Bivirkningerne ved Chenodeoxycholic acid Leadiant er forstoppelse og unormale levertal. Da de tilgængelige data er begrænsede, kan man imidlertid ikke foretage et pålideligt skøn over hyppigheden af disse bivirkninger. De var milde eller moderate og var ikke vedvarende.

Den fuldstændige liste over begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Chenodeoxycholic acid Leadiant godkendt?

Chenodeoxycholsyre har været anvendt til behandling af cerebrotendinøs xantomatose i ca. 40 år, selvom det ikke var godkendt til denne anvendelse. Da der imidlertid er tale om en sjælden sygdom, er de tilgængelige data om brugen af lægemidlet stadig begrænsede. Undersøgelser har ikke desto mindre vist, at patienterne har gavn af lægemidlet uden at have væsentlige bivirkninger. Agenturets

Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) konkluderede derfor, at fordelene ved Chenodeoxycholic acid Leadiant opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU.

Chenodeoxycholic acid Leadiant er godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om Chenodeoxycholic acid Leadiant, 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 Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Da Chenodeoxycholic acid Leadiant er godkendt under særlige omstændigheder, vil den virksomhed, der markedsfører lægemidlet, oprette et register til overvågning af lægemidlets fordele og sikkerhed.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Chenodeoxycholic acid Leadiant?

I produktresuméet og indlægssedlen er der indføjet anbefalinger og forholdsregler, som sundhedspersonale og patienter skal følge med henblik på sikker og effektiv anvendelse af Chenodeoxycholic acid Leadiant.

Andre oplysninger om Chenodeoxycholic acid Leadiant

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Chenodeoxycholic acid Leadiant den 10. april 2017. Lægemidlets navn blev ændret til Chenodeoxycholic acid Leadiant den 12. maj 2017.

Den fuldstændige EPAR for Chenodeoxycholic acid Leadiant findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Chenodeoxycholic acid Leadiant, 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 Chenodeoxycholic acid Leadiant findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 06-2017.