



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Chenodeoxycholic acid Leadiant¹

χηνοδεοξυχολικό οξύ

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Chenodeoxycholic acid Leadiant. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Chenodeoxycholic acid Leadiant.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη λήψη του Chenodeoxycholic acid Leadiant, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευούνται το φύλλο οδηγιών χρήσης ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Chenodeoxycholic acid Leadiant και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Chenodeoxycholic acid Leadiant είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία χηνοδεοξυχολικό οξύ. Πρόκειται για ένα «πρωτογενές χολικό οξύ», το οποίο αποτελεί βασικό συστατικό της χολής (υγρό που παράγεται από το ήπαρ και συμβάλλει στην πέψη των λιπών).

Το Chenodeoxycholic acid Leadiant χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενηλίκων και παιδιών ηλικίας ενός μηνός και άνω που πάσχουν από εγκεφαλοτενοντώδη ξανθωμάτωση. Οι εν λόγω ασθενείς δεν μπορούν να παράγουν αρκετό από αυτό το πρωτογενές χολικό οξύ, το χηνοδεοξυχολικό οξύ, λόγω γενετικών ανωμαλιών που οδηγούν σε έλλειψη του ηπατικού ενζύμου στερόλη-27-υδροξυλάση. Σε περιπτώσεις έλλειψης πρωτογενών χολικών οξέων, ο οργανισμός παράγει αντ' αυτών μη φυσιολογικά χολικά οξέα και άλλες ουσίες, που συσσωρεύονται σε ολόκληρο τον οργανισμό προκαλώντας βλάβες.

¹ Παλαιότερα ονομαζόταν Chenodeoxycholic acid sigma-tau.



Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με τη συγκεκριμένη πάθηση και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Chenodeoxycholic acid Leadiant χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 16 Δεκεμβρίου 2014.

Το Chenodeoxycholic acid Leadiant είναι «υβριδικό φάρμακο». Αυτό σημαίνει ότι είναι παρόμοιο με το «φάρμακο αναφοράς» που περιέχει την ίδια δραστική ουσία. Το «φάρμακο αναφοράς» για το Chenodeoxycholic acid Leadiant είναι το Xenbilox. Ωστόσο, το Xenbilox διαφέρει από το Chenodeoxycholic acid Leadiant ως προς το ότι έχει εγκριθεί για διαφορετική χρήση (για τη διάλυση των χολόλιθων χοληστερόλης).

Πώς χρησιμοποιείται το Chenodeoxycholic acid Leadiant;

Το Chenodeoxycholic acid Leadiant χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η θεραπεία θα πρέπει να ξεκινά και να επιβλέπεται από γιατρό με εμπειρία στην αντιμετώπιση της εγκεφαλοτενοντώδους ξανθωμάτωσης ή άλλων ασθενειών που σχετίζονται με την παραγωγή πρωτογενών χολικών οξέων.

Το Chenodeoxycholic acid Leadiant διατίθεται σε κάψουλες (250 mg) που λαμβάνονται 3 φορές ημερησίως, περίπου την ίδια ώρα κάθε ημέρα. Η ημερήσια δόση επιλέγεται και προσαρμόζεται κατά τη διάρκεια της θεραπείας για κάθε ασθενή ανάλογα με την ηλικία, την ηπατική λειτουργία και τα επίπεδα των χολικών οξέων στο αίμα και στα ούρα. Για τα μικρά παιδιά και τα παιδιά που δεν μπορούν να καταπιούν κάψουλες, το περιεχόμενο της κάψουλας μπορεί να αναμειχθεί με διάλυμα διπτανθρακικού νατρίου 8,4% για την παρασκευή υγρού.

Για περισσότερες πληροφορίες, ανατρέξτε στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Πώς δρα το Chenodeoxycholic acid Leadiant;

Το χηνοδεοξυχολικό οξύ είναι ένα από τα πρωτογενή χολικά οξέα που παράγονται από το ήπαρ. Το χηνοδεοξυχολικό οξύ που περιέχεται σε αυτό το φάρμακο υποκαθιστά το χηνοδεοξυχολικό οξύ που λείπει από τον ασθενή. Αυτό βοηθά στη μείωση της παραγωγής μη φυσιολογικών ουσιών και συμβάλλει στη φυσιολογική δραστηριότητα της χολής στο πεπτικό σύστημα, ανακουφίζοντας έτσι τα συμπτώματα της νόσου.

Ποια είναι τα οφέλη του Chenodeoxycholic acid Leadiant σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Chenodeoxycholic acid Leadiant διερευνήθηκε σε μελέτη κατά την οποία εξετάστηκαν τα αρχεία 35 ασθενών που έπασχαν από εγκεφαλοτενοντώδη ξανθωμάτωση και οι οποίοι λάμβαναν χηνοδεοξυχολικό οξύ για περίπου 9 έτη. Από τους 23 ασθενείς για τους οποίους υπήρχαν διαθέσιμα στοιχεία σχετικά με τα επίπεδα των χολικών οξέων στο αίμα, το 100% παρουσίασαν μείωση στα επίπεδά τους (μέση μείωση κατά 56-69 μmol/L). Από τους 14 ασθενείς για τους οποίους υπήρχαν διαθέσιμα στοιχεία σχετικά με τα επίπεδα των χολικών οξέων στα ούρα, το 79% (11 από 14) παρουσίασαν μειωμένα επίπεδα κατά την πιο πρόσφατη εξέτασή τους. Στους περισσότερους ασθενείς παρατηρήθηκαν, επίσης, βελτιώσεις όσον αφορά τα συμπτώματα της νόσου: όλοι ανέφεραν ανακούφιση των συμπτωμάτων της διάρροιας, 89% των ασθενών επέδειξαν βελτίωση της νοητικής ικανότητας, 60% επέδειξαν βελτίωση της κινητικότητας, και 85% και 77% των ασθενών επέδειξαν βελτίωση της ψυχικής υγείας με βάση δύο διαφορετικές βαθμολογίες.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Chenodeoxycholic acid Leadiant;

Οι ανεπιθύμητες ενέργειες που παρατηρούνται με το Chenodeoxycholic acid Leadiant είναι δυσκοιλιότητα και μη φυσιολογικές τιμές σε ηπατικές δοκιμασίες. Ωστόσο, δεν ήταν δυνατό να εκτιμηθεί

με αξιοπιστία η συχνότητά τους εξαιτίας των περιορισμένων διαθέσιμων δεδομένων. Οι ανεπιθύμητες αυτές ενέργειες ήταν ήπιας ή μέτριας σοβαρότητας και δεν είχαν διάρκεια.

Ο κατάλογος των περιορισμών περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Chenodeoxycholic acid Leadiant;

Το χηνοδεοξυχολικό οξύ χρησιμοποιείται για την αντιμετώπιση της εγκεφαλοτενοντώδους ξανθωμάτωσης εδώ και περίπου 40 έτη, παρότι δεν ήταν εγκεκριμένο για τη συγκεκριμένη χρήση. Ωστόσο, λόγω της σπανιότητας της νόσου, τα διαθέσιμα δεδομένα σχετικά με τη χρήση του φαρμάκου είναι ακόμα περιορισμένα. Ωστόσο, οι μελέτες έχουν καταδείξει ότι το φάρμακο ωφελεί τους ασθενείς και δεν έχει σημαντικές ανεπιθύμητες ενέργειες. Ως εκ τούτου, η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Οργανισμού έκρινε ότι τα οφέλη του Chenodeoxycholic acid Leadiant υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το Chenodeoxycholic acid Leadiant έχει εγκριθεί με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων». Αυτό σημαίνει ότι, λόγω της σπανιότητας της ασθένειας, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Chenodeoxycholic acid Leadiant. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα περίληψη θα ενημερώνεται αναλόγως.

Ποια στοιχεία για το Chenodeoxycholic acid Leadiant αναμένεται να υποβληθούν;

Δεδομένου ότι το Chenodeoxycholic acid Leadiant εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», η εταιρεία που εμπορεύεται το φάρμακο θα δημιουργήσει ένα μητρώο για την παρακολούθηση των οφελών και της ασφάλειας του φαρμάκου.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Chenodeoxycholic acid Leadiant;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Chenodeoxycholic acid Leadiant.

Λοιπές πληροφορίες για το Chenodeoxycholic acid Leadiant

Στις 10 Απριλίου 2017 η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Chenodeoxycholic acid sigma-tau. Το φάρμακο μετονομάστηκε σε Chenodeoxycholic acid Leadiant στις 12 Μαΐου 2017.

Η πλήρης EPAR του Chenodeoxycholic acid Leadiant διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Chenodeoxycholic acid Leadiant, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Chenodeoxycholic acid Leadiant διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 06-2017.