



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kokkuvõte üldsusele

Chenodeoxycholic acid Lediand¹

kenodeoksükoolhape

See on ravimi Chenodeoxycholic acid Lediand Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloo andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta ravimi Chenodeoxycholic acid Lediand kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate ravimi Chenodeoxycholic acid Lediand kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Mis on Chenodeoxycholic acid Lediand ja milleks seda kasutatakse?

Chenodeoxycholic acid Lediand on ravim, mis sisaldab toimeainena kenodeoksükoolhapet. Kenodeoksükoolhape on primaarne sapphape, mis on sapi (maksa eritav vedelik, mis aitab rasvu seedida) põhikomponent.

Ravimit Chenodeoxycholic acid Lediand kasutatakse tserebrotendinoosse ksantomatoosiga täiskasvanute ja vähemalt 1-kuuste laste raviks. Geenihäirete tõttu ei teki nende patsientide organismis piisavalt primaarset sapphapet kenodeoksükoolhapet, sest puudub maksaensüüm 27-hüdroksülaas. Primaarsete sapphapete vaeguse korral tekib organismis ebanormaalseid sapphappeid ja muid aineid, mis kogunevad organismi ja kahjustavad seda.

Et selle seisundiga patsiente on vähe ja see haigus esineb harva, nimetati Chenodeoxycholic acid Lediand 16. detsembril 2014 harvikravimiks.

Chenodeoxycholic acid Lediand on hübriidravim. See tähendab, et ta on sarnane võrdlusravimiga, mis sisaldab sama toimeainet. Ravimi Chenodeoxycholic acid Lediand võrdlusravim on Xenbilox. Xenbilox

¹ Varasem nimetus Chenodeoxycholic acid sigma-tau.



erineb ravimist Chenodeoxycholic acid Leadiant selle poolest, et on heaks kiidetud kasutamiseks muul näidustusel (kolesterool-sapikivide lagundamine).

Kuidas ravimit Chenodeoxycholic acid Leadiant kasutatakse?

Chenodeoxycholic acid Leadiant on retseptiravim. Ravi tohib määrata ning seda peab jälgima tserebrotendinoosse ksantomatoosi või primaarsete sapphapete tekkega seotud muude haiguste ravis kogenud arst.

Ravimit Chenodeoxycholic acid Leadiant turustatakse kapslitena (250 mg), mida võetakse 3 korda ööpäevas iga päev ligikaudu samal kellaajal. Igale patsiendile sobiva ööpäevase annuse valimisel ja ravიაegsel kohandamisel lähtutakse patsiendi vanusest, maksafunktsioonist ning sapphapete sisaldusest veres ja uriinis. Väikelastel ja lastel, kes ei suuda kapsleid neelata, tohib kapslisisu segada naatriumbikarbonaadi 8,4% lahusega vedelikuks.

Üksikasjalik teave on pakendi infolehel.

Kuidas Chenodeoxycholic acid Leadiant toimib?

Kenodeoksükoolhape on üks peamisi maksas tekkivaid primaarseid sapphappeid. Ravimis sisalduv kenodeoksükoolhape asendab patsiendi puuduvat kenodeoksükoolhapet. See aitab vähendada ebanormaalsete ainete teket ja soodustab sapi normaalset toimimist seedesüsteemis, leevendades sellega haiguse sümptomeid.

Milles seisneb uuringute põhjal ravimi Chenodeoxycholic acid Leadiant kasulikkus?

Ravimit Chenodeoxycholic acid Leadiant uuriti ühes uuringus, milles analüüsiti 35 tserebrotendinoosse ksantomatoosiga patsiendi andmeid, kes kasutasid kenodeoksükoolhapet ligikaudu 9 aastat. 23 patsiendist, kelle vere sapphapete sisalduse kohta olid andmed olemas, vähenes kõigil sapphapete sisaldus (keskmine vähenemine 56–69 µmol/l). 14 patsiendist, kelle kohta olid olemas andmed sapphapete sisalduse kohta uriinis, vähenes see sisaldus viimaseks analüüsiks 79%-l (11 patsienti 14st). Enamikul patsientidest paranesid ka haiguse sümptomid: kõik teatasid kõhulahtisuse vähenemisest, 89%-l paranes vaimne võimekus, 60%-l paranes liikuvus ning kahe eri skoori järgi hinnates oli patsiente, kelle psühhiaatriline seisund paranes, vastavalt 85% ja 77%.

Mis riskid ravimiga Chenodeoxycholic acid Leadiant kaasnevad?

Ravimi Chenodeoxycholic acid Leadiant kõige sagedamad kõrvalnähud on kõhukinnisus ja maksaanalüüsides ebanormaalsed väärtused, kuid nende esinemissagedust ei ole olemasolevate andmete põhjal võimalik usaldusväärselt hinnata. Kõrvalnähud olid kerged või möödukad ega olnud püsivad.

Piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Chenodeoxycholic acid Leadiant heaks kiideti?

Kenodeoksükoolhapet on tserebrotendinoosse ksantomatoosi raviks kasutatud ligikaudu 40 aastat, kuigi ravimi kasutamine sellel näidustusel ei ole heaks kiidetud. Et haigus esineb harva, on andmed ravimi kasutamise kohta endiselt piiratud. Uuringutes on siiski tõendatud, et ravim on patsientidele kasulik ja olulised kõrvalnähud puuduvad. Inimravimite komitee otsustas, et ravimi Chenodeoxycholic

acid Leadiant kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas ravimi kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita.

Chenodeoxycholic acid Leadiant on saanud müügiloa erandlikel asjaoludel. See tähendab, et harvaesineva haiguse tõttu ei olnud võimalik saada ravimi Chenodeoxycholic acid Leadiant kohta täielikku teavet. Euroopa Ravimiamet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe ja vajaduse korral uuendab käesolevat kokkuvõtet.

Mis teavet ravimi Chenodeoxycholic acid Leadiant kohta veel oodatakse?

Et Chenodeoxycholic acid Leadiant on saanud müügiloa erandlikel asjaoludel, hakkab ravimi turustaja pidama ravimi kasulikkuse ja ohutuse hindamiseks registrit.

Mis meetmed võetakse, et tagada ravimi Chenodeoxycholic acid Leadiant ohutu ja efektiivne kasutamine?

Ravimi Chenodeoxycholic acid Leadiant ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Muu teave ravimi Chenodeoxycholic acid Leadiant kohta

Euroopa Komisjon andis ravimi Chenodeoxycholic acid sigma-tau müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidus, 10. aprillil 2017. Ravimi nimetus muudeti 12. mail 2017 nimetuseks Chenodeoxycholic acid Leadiant.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst ravimi Chenodeoxycholic acid Leadiant kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Kui vajate ravimiga Chenodeoxycholic acid Leadiant toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte ravimi Chenodeoxycholic acid Leadiant kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 06-2017.