



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Chenodeoxycholic acid Leadiant¹

kenodeoksikoolihappo

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Chenodeoxycholic acid Leadiant -lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päättänyt suositukseen myyntiluvan myöntämisestä sille EU:ssa ja sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Chenodeoxycholic acid Leadiantin käytöstä.

Potilas saa tietoa Chenodeoxycholic acid Leadiantin käytöstä pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Chenodeoxycholic acid Leadiant on ja mihin sitä käytetään?

Chenodeoxycholic acid Leadiant on lääke, jonka vaikuttava aine on kenodeoksikoolihappo. Kyseessä on primaarinen sappihappo, joka on sapen pääasiallinen ainesosa (maksan tuottama neste, joka edistää ruuansulatusta rasvojen osalta).

Chenodeoxycholic acid Leadiant -valmistetta käytetään serebrotendinoosista ksantomatoosia sairastavien aikuisten ja vähintään 1 kuukauden ikäisten lasten hoitoon. Tällaiset potilaat eivät kykene tuottamaan riittävästi primaarista sappihappoa nimeltä kenodeoksikoolihappo geneettisten poikkeavuuksien vuoksi, jotka aiheuttavat maksan entsyymien steroli-27-hydroksylaasin puutoksen. Primaaristen sappihappojen puuttuessa elimistö tuottaa sen sijaan epänormaaleja sappihappoja ja muita aineita, jotka kertyvät eri puolille kehoa ja joista on vahinkoa.

Koska tätä sairautta sairastavia potilaita on vähän, sairaus katsotaan harvinaiseksi, ja Chenodeoxycholic acid Leadiant nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 16. joulukuuta 2014.

¹ Aiemmin Chenodeoxycholic acid sigma-tau.



Chenodeoxycholic acid Lediand on ns. hybridilääke. Tämä tarkoittaa sitä, että se on samanlainen kuin samaa vaikuttavaa ainetta sisältävä alkuperäisvalmiste. Chenodeoxycholic acid Lediand -valmisteen alkuperäisvalmiste on Xenbilox. Xenbilox poikkeaa kuitenkin Chenodeoxycholic acid Lediand -valmisteesta siten, että sen lupa on eri käyttötarkoitukseen (kolesterolisappikivien liuottaminen).

Miten Chenodeoxycholic acid Lediand -valmistetta käytetään?

Chenodeoxycholic acid Lediand -valmiste on reseptilääke. Hoidon saa aloittaa ainoastaan lääkäri, jolla on kokemusta serebrotendinoosisen ksantomatoosin tai muiden primaarisen sappihapon tuotantoon liittyvien sairauksien hoidosta, ja hänen on myös valvottava hoitoa.

Chenodeoxycholic acid Lediand -valmistetta on saatavissa kapseleina (250 mg), jotka otetaan kolme kertaa vuorokaudessa suunnilleen samaan aikaan joka päivä. Päivittäinen annos valitaan ja sitä mukautetaan hoidon aikana kunkin potilaan iän, maksan toiminnan sekä veren ja virtsan sappihappopitoisuuksien mukaan. Kun lääkevalmistetta annetaan pienille lapsille ja lapsille, jotka eivät kykene nielemään kapseleita, kapselin sisältö voidaan sekoittaa 8,4 %:n natriumbikarbonaattiliuokseen.

Lisätietoja on pakkausselosteessa.

Miten Chenodeoxycholic acid Lediand vaikuttaa?

Kenodeoksikoolihappo on yksi tärkeimmistä maksan tuottamista primaarisista sappihapoista. Tämän lääkevalmisteen sisältämä kenodeoksikoolihappo korvaa potilaan puuttuvan kenodeoksikoolihapon. Se auttaa vähentämään epänormaalien aineiden tuotantoa ja edistää sapen normaalia toimintaa ruuansulatusjärjestelmässä lieventäen näin sairauden oireita.

Mitä hyötyä Chenodeoxycholic acid Lediand -valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

Chenodeoxycholic acid Lediand -valmistetta on tutkittu tutkimuksessa, jossa tarkasteltiin 35:n serebrotendinoosista ksantomatoosia sairastavan potilaan tietoja. Potilaat olivat saaneet kenodeoksikoolihappoa noin yhdeksän vuoden ajan. Niiden 23 potilaan joukossa, joiden osalta tiedot veren sappihappopitoisuuksista olivat saatavissa, pitoisuudet pienenevät kaikilla (keskimääräinen pienentyminen oli 56–69 µmol/l). Niiden 14 potilaan joukossa, joiden osalta tiedot virtsan sappihappopitoisuuksista olivat saatavissa, 79 prosentilla (11 potilasta 14:stä) pitoisuudet olivat pienentyneet viimeisimmässä kokeessa. Lisäksi sairauden oireet lievenivät useimmilla potilailla: ripuli väheni kaikilla potilailla, henkinen suorituskyky parani 89 prosentilla potilaista, liikuntakyky parani 60 prosentilla potilaista ja psyykkiset häiriöt paranivat 85 prosentilla ja 77 prosentilla potilaista kahden eri pisteytyksen perusteella.

Mitä riskejä Chenodeoxycholic acid Lediand -valmisteseen liittyy?

Chenodeoxycholic acid Lediand -valmisteen havaittuja sivuvaikutuksia ovat ummetus ja poikkeavat maksa-arvot: niiden yleisyyttä ei ole kuitenkaan voitu arvioida luotettavasti käytettävissä olevien tietojen vähyyden vuoksi. Sivuvaikutukset olivat lieviä tai kohtalaisia ja lyhytkestoisia.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista valmisteen rajoituksista.

Miksi Chenodeoxycholic acid Leadiant on hyväksytty?

Kenodeoksikoolihappoa on käytetty serebrotendinoosin ksantomatoosin hoitoon lähes 40 vuoden ajan, vaikka sitä ei ole lisensoitu kyseiseen käyttötarkoitukseen. Sairauden harvinaisuuden vuoksi lääkevalmisteen käytöstä on kuitenkin edelleen vain vähän tietoja. Tutkimukset ovat kuitenkin osoittaneet, että lääkevalmisteesta on hyötyä potilaille eikä sillä ole merkitseviä sivuvaikutuksia. Näin ollen viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Chenodeoxycholic acid Leadiant -valmisteen hyöty on sen riskejä suurempi ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa.

Chenodeoxycholic acid Leadiant on saanut myyntiluvan ns. poikkeusolosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Chenodeoxycholic acid Leadiant -valmisteesta ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä yhteenvetoa päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Chenodeoxycholic acid Leadiant -valmisteesta odotetaan vielä saatavan?

Koska Chenodeoxycholic acid Leadiant -valmisteen myyntilupa on myönnetty poikkeusolosuhteissa, lääkevalmistetta markkinoiva yhtiö perustaa rekisterin, jonka avulla se seuraa lääkevalmisteen hyötyä ja turvallisuutta.

Miten voidaan varmistaa Chenodeoxycholic acid Leadiant -valmisteen turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Chenodeoxycholic acid Leadiant -valmisteen käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Muita tietoja Chenodeoxycholic acid Leadiant -valmisteesta

Euroopan komissio myönsi 10. huhtikuuta 2017 koko Euroopan unionissa voimassa olevan myyntiluvan Chenodeoxycholic acid Leadiant -valmistetta varten. Lääkkeen uudeksi nimeksi tuli Chenodeoxycholic acid Leadiant 12. toukokuuta 2017.

Chenodeoxycholic acid Leadiant -valmistetta koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lisätietoja Chenodeoxycholic acid Leadiant -hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Chenodeoxycholic acid Leadiant -valmistetta koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 06-2017.