



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Résumé EPAR à l'intention du public

Chenodeoxycholic acid Leadiant¹

acide chénodésoxycholique

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Chenodeoxycholic acid Leadiant. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé l'a conduite à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Chenodeoxycholic acid Leadiant.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Chenodeoxycholic acid Leadiant, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

Qu'est-ce que Chenodeoxycholic acid Leadiant et dans quel cas est-il utilisé?

Chenodeoxycholic acid Leadiant est un médicament dont le principe actif est l'acide chénodésoxycholique. C'est un «acide biliaire primaire», c'est-à-dire un des principaux composants de la bile (un liquide qui est produit par le foie et qui facilite la digestion des graisses).

Chenodeoxycholic acid Leadiant est indiqué dans le traitement de la xanthomatose cérébrotendineuse chez l'adulte et l'enfant à partir d'un mois. Ces patients ne peuvent pas produire une quantité suffisante de l'acide biliaire acide primaire chénodésoxycholique en raison d'anomalies génétiques qui entraînent un déficit de l'enzyme hépatique stérol 27-hydroxylase. Quand des acides biliaires primaires manquent, le corps produit à leur place des acides biliaires anormaux et d'autres substances anormales, qui s'accumulent dans tout l'organisme, causant alors des lésions.

¹ Précédemment connu sous le nom de Chenodeoxycholic acid sigma-tau



Étant donné le faible nombre de patients touchés par cette maladie, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Chenodeoxycholic acid Leadiant a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 16 décembre 2014.

Chenodeoxycholic acid Leadiant est un médicament «hybride». Cela signifie qu'il est similaire à un «médicament de référence» contenant le même principe actif. Le médicament de référence pour Chenodeoxycholic acid Leadiant est Xenbilox. Toutefois, Xenbilox diffère de Chenodeoxycholic acid Leadiant en ce qu'il est autorisé pour un usage différent (pour dissoudre les calculs biliaires de cholestérol).

Comment Chenodeoxycholic acid Leadiant est-il utilisé?

Chenodeoxycholic acid Leadiant n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et surveillé par un médecin expérimenté dans le traitement de la xanthomatose cérébrotendineuse ou d'autres maladies de la production d'acides biliaires primaires.

Chenodeoxycholic acid Leadiant est disponible sous la forme de gélules (250 mg) qui sont prises 3 fois par jour, à peu près à la même heure chaque jour. La dose quotidienne est choisie et ajustée au cours du traitement pour chaque patient en fonction de l'âge du patient, de sa fonction hépatique et de ses taux d'acides biliaires dans le sang et dans l'urine. Pour les enfants en bas âge et les enfants qui ne peuvent pas avaler de gélules, le contenu des gélules peut être mélangé avec une solution de bicarbonate de sodium à 8,4 % pour préparer un liquide.

Pour plus d'informations, voir la notice.

Comment Chenodeoxycholic acid Leadiant agit-il?

L'acide chénodésoxycholique est l'un des principaux acides biliaires primaires produits par le foie. L'acide chénodésoxycholique contenu dans ce médicament remplace l'acide chénodésoxycholique manquant chez le patient, ce qui aide à diminuer la production de substances anormales et contribue à l'activité normale de la bile dans le système digestif, soulageant ainsi les symptômes de la maladie.

Quels sont les bénéfices de Chenodeoxycholic acid Leadiant démontrés au cours des études?

Chenodeoxycholic acid Leadiant a fait l'objet d'une étude qui a examiné les dossiers de 35 patients atteints de xanthomatose cérébrotendineuse ayant reçu de l'acide chénodésoxycholique pendant environ 9 ans. Sur les 23 patients pour lesquels on disposait de données sur les taux sanguins d'acides biliaires, tous présentaient des diminutions de leurs taux (diminution moyenne de 56-69 $\mu\text{mol/l}$). Sur les 14 patients pour lesquels on disposait de données sur les taux urinaires d'acides biliaires, 79 % (11 sur 14) présentaient des taux réduits lors de leur analyse d'urine la plus récente. La plupart des patients présentaient également une amélioration des symptômes de la maladie: tous ont signalé une atténuation de la diarrhée, 89 % des patients présentaient une amélioration de leurs capacités mentales, 60 % des patients présentaient une amélioration de la mobilité, et 85 % et 77 % des patients présentaient une amélioration psychiatrique basée sur deux scores différents.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Les effets indésirables observés sous Chenodeoxycholic acid Leadiant sont la constipation et les résultats anormaux des tests de la fonction hépatique; cependant, leur fréquence n'a pas pu être

estimée de manière fiable à partir du peu de données disponibles. Ces effets indésirables étaient d'intensité légère ou modérée et n'ont pas duré.

Pour la liste des restrictions, voir la notice.

Pourquoi Chenodeoxycholic acid Leadiant est-il approuvé?

L'acide chénodésoxycholique est utilisé pour traiter la xanthomatose cérébrotendineuse depuis environ 40 ans, bien qu'il n'ait pas été autorisé pour cet usage. Toutefois, du fait de la rareté de cette maladie, il existe encore peu de données disponibles sur l'utilisation de ce médicament. Néanmoins, les études ont montré que le médicament est bénéfique aux patients et n'entraîne pas d'effets indésirables importants. Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a dès lors estimé que les bénéfices de Chenodeoxycholic acid Leadiant sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Chenodeoxycholic acid Leadiant. En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Chenodeoxycholic acid Leadiant en raison de la rareté de la maladie. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent résumé.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles ayant été délivrée pour Chenodeoxycholic acid Leadiant, la société qui commercialise ce médicament mettra en place un registre de patients pour surveiller les bénéfices et la sécurité du médicament.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Chenodeoxycholic acid Leadiant ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Autres informations relatives à Chenodeoxycholic acid Leadiant:

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Chenodeoxycholic acid sigma-tau, le 10 avril 2017. Le médicament a changé de nom le 12 mai 2017 et s'appelle désormais Chenodeoxycholic acid Leadiant.

L'EPAR complet relatif à Chenodeoxycholic acid Leadiant est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pour plus d'informations sur le traitement par Chenodeoxycholic acid Leadiant, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Chenodeoxycholic acid Leadiant est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Dernière mise à jour du présent résumé: 06-2017.