



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Kenodeoksikolna kiselina Leadiant¹

kenodeoksikolna kiselina

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o procjeni (EPAR) lijeka Kenodeoksikolna kiselina Leadianit. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek da bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o primjeni lijeka Kenodeoksikolna kiselina Leadianit.

Praktične informacije o primjeni lijeka Kenodeoksikolna kiselina Leadianit bolesnici trebaju pročitati u uputi o lijeku, odnosno trebaju se obratiti svojem liječniku ili ljekarniku.

Što je Kenodeoksikolna kiselina Leadianit i za što se koristi?

Kenodeoksikolna kiselina Leadianit je lijek koji sadrži djelatnu tvar kenodeoksikolnu kiselinu. To je „primarna žučna kiselina“ koja je glavni sastojak žuči (tekućine koju proizvodi jetra radi probavljanja masnoća).

Kenodeoksikolna kiselina Leadiant koristi se u liječenju odraslih i djece u dobi od jednog mjeseca nadalje koji boluju od cerebrotendinozne ksantomatoze. Ti bolesnici ne mogu proizvesti dovoljno primarne žučne kiseline, odnosno kenodeoksikolne kiseline, zbog genetskih poremećaja koji rezultiraju nedostatkom jetrenog enzima sterola 27 hidrosilaze. Ako postoji manjak primarnih žučnih kiselina, tijelo proizvodi abnormalne žučne kiseline i druge tvari koje se nakupljaju u tijelu i uzrokuju štetu.

Budući da je broj bolesnika s tim stanjem nizak, bolest se smatra „rijetkom“ te se lijek Kenodeoksikolna kiselina Leadiant označava kao „lijek za liječenje rijetkih bolesti“ od 16. prosinca 2014.

¹ ranije poznat pod nazivom Kenodeoksikolna kiselina sigma-tau



Kenodeoksikolna kiselina Leadianit je „hibridni lijek“. To znači da je sličan „referentnom lijeku“ koji sadrži istu djelatnu tvar. Referentni lijek za lijek Kenodeoksikolna kiselina Leadianit je Xenbilox. Međutim, Xenbilox se razlikuje od lijeka Kenodeoksikolna kiselina Leadiant jer je odobren za drugu upotrebu (za otapanje žučnih kamenaca).

Kako se Kenodeoksikolna kiselina Leadiant koristi?

Kenodeoksikolna kiselina Leadiant izdaje se samo na liječnički recept, a liječenje treba započeti i nadzirati liječnik koji ima iskustva u liječenju cerebrotendinozne ksantomatoze ili drugih bolesti proizvodnje primarne žučne kiseline.

Lijek Kenodeoksikolna kiselina Leadiant dostupan je u obliku kapsula (250 mg) koje se uzimaju 3 puta dnevno približno u isto vrijeme svakog dana. Dnevna se doza odabire za svakog bolesnika i prilagođava mu se tijekom liječenja ovisno o dobi bolesnika, funkciji jetre i razinama žučnih kiselina u krvi i urinu. Za malu djecu i djecu koja ne mogu progutati kapsule, sadržaj kapsula može se pomiješati s otopinom natrijeva bikarbonata od 8,4 % da bi se dobila tekućina.

Za dodatne informacije vidjeti uputu o lijeku.

Kako djeluje Kenodeoksikolna kiselina Leadiant?

Kenodeoksikolna kiselina jedna je od glavnih primarnih žučnih kiselina koje proizvodi jetra. Kenodeoksikolna kiselina sadržana u ovom lijeku nadomješta kenodeoksikolnu kiselinu koja nedostaje bolesniku. To pomaže u smanjivanju stvaranja abnormalnih tvari i doprinosi normalnoj aktivnosti žuči u probavnom sustavu, čime se ublažavaju simptomi ove bolesti.

Koje su koristi lijeka Kenodeoksikolna kiselina Leadiant dokazane u ispitivanjima?

Lijek Kenodeoksikolna kiselina Leadiant ispitivan je u ispitivanju tijekom kojega su pregledani podatci o 35 bolesnika s cerebrotendinoznom ksantomatozom koji su primali kenodeoksikolnu kiselinu otprilike 9 godina. U svih 23 bolesnika za koje su bili dostupni podatci o razini žučne kiseline u krvi zabilježeno je smanjenje tih razina (prosječno smanjenje 56–69 $\mu\text{mol/l}$). Od 14 bolesnika za koje su bili dostupni podatci o razini žučnih kiselina u mokraći, u 79 % njih (11 od 14) zabilježeno je smanjenje razine prilikom posljednje pretrage. U većine bolesnika došlo je do ublažavanja simptoma bolesti: u svih je zabilježeno ublažavanje proljeva, u 89 % bolesnika došlo je do poboljšanja mentalnih sposobnosti, u 60 % bolesnika došlo je do poboljšane mobilnosti, a u 85 % i 77 % bolesnika došlo je do psihijatrijskog poboljšanja na temelju dvije različite ocjene.

Koji su rizici povezani s lijekom Kenodeoksikolna kiselina Leadiant?

Nuspojave lijeka Kenodeoksikolna kiselina Leadiant su zatvor i abnormalne vrijednosti jetrenih proba. Međutim, učestalost nuspojava nije se mogla pouzdano utvrditi zbog toga što su dostupni podatci bili ograničeni. Nuspojave su bile blage ili umjerene i nisu dugo trajale.

Potpuni popis ograničenja potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Kenodeoksikolna kiselina Leadiant odobren?

Kenodeoksikolna kiselina koristi se za liječenje cerebrotendinozne ksantomatoze otprilike 40 godina iako nije licencirana za tu primjenu. Međutim, budući da je ta bolest rijetka, podatci o primjeni tog lijeka i dalje su ograničeni. Ispitivanja su pokazala da lijek koristi bolesnicima i nema značajnih

nuspojava. Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) pri Agenciji odlučio je da koristi lijeka Kenodeoksikolna kiselina Leadiant nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio njegovo odobrenje za primjenu u Europskoj uniji.

Lijek Kenodeoksikolna kiselina Leadiant odobren je u „iznimnim okolnostima“. Razlog za to je nemogućnost dobivanja potpunih informacija o lijeku Kenodeoksikolna kiselina Leadiant zbog rijetkosti bolesti. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove informacije koje postanu dostupne te se ovaj sažetak po potrebi ažurira.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Kenodeoksikolna kiselina Leadiant?

Budući da je lijek Kenodeoksikolna kiselina Leadiant dobio odobrenje u iznimnim okolnostima, tvrtka koja stavlja lijek u promet uspostaviti će registar za praćenje koristi i sigurne primjene lijeka.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Kenodeoksikolna kiselina Leadiant?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Kenodeoksikolna kiselina Leadiant nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Ostale informacije o lijeku Kenodeoksikolna kiselina Leadiant

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje lijeka Kenodeoksikolna kiselina sigma-tau u promet koje vrijedi na prostoru Europske unije od 10. travnja 2017. Naziv lijeka izmijenjen je u Kenodeoksikolna kiselina Leadiant 12. svibnja 2017.

Cjeloviti EPAR za lijek Kenodeoksikolna kiselina Leadiant nalazi se na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Više informacija o liječenju lijekom Kenodeoksikolna kiselina Leadiant pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a), odnosno obratite se svojem liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti za lijek Kenodeoksikolna kiselina Leadiant dostupan je na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Sažetak je posljednji put ažuriran: 06. 2017.