



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Riassunto destinato al pubblico

---

# Chenodeoxycholic acid Lediant<sup>1</sup>

## acido chenodeossicolico

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Chenodeoxycholic acid Lediant. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Chenodeoxycholic acid Lediant.

Per informazioni pratiche sull'uso di Chenodeoxycholic acid Lediant i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

## Che cos'è e per che cosa si usa Chenodeoxycholic acid Lediant?

Chenodeoxycholic acid Lediant è un medicinale che contiene il principio attivo acido chenodeossicolico. L'acido chenodeossicolico è un "acido biliare primario", ossia un componente principale della bile (un liquido prodotto dal fegato che favorisce la digestione dei grassi).

Chenodeoxycholic acid Lediant è indicato per il trattamento di adulti e bambini a partire da un mese di età affetti da xantomatosi cerebrotendinea. Tali pazienti non sono in grado di produrre in quantità sufficiente l'acido chenodeossicolico, che è un acido biliare primario, a causa di anomalie genetiche che provocano una mancanza dell'enzima epatico sterolo 27-idrossilasi. In assenza di acidi biliari primari, l'organismo produce invece acidi biliari anomali e altre sostanze che si accumulano nell'organismo con conseguenze dannose.

Poiché il numero di pazienti con tale affezione è basso, la malattia è considerata "rara" e Chenodeoxycholic acid Lediant è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale usato nelle malattie rare) il 16 dicembre 2014.

---

<sup>1</sup> In precedenza noto come Chenodeoxycholic acid sigma-tau.



Chenodeoxycholic acid Leadiant è un "medicinale ibrido". Questo significa che è analogo a un "medicinale di riferimento" contenente lo stesso principio attivo. Il medicinale di riferimento di Chenodeoxycholic acid Leadiant è Xenbilox. Tuttavia, Xenbilox è diverso da Chenodeoxycholic acid Leadiant in quanto autorizzato per un altro uso terapeutico, ossia dissolvere i calcoli di colesterolo.

## **Come si usa Chenodeoxycholic acid Leadiant?**

Chenodeoxycholic acid Leadiant può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere iniziata e monitorata da un medico esperto nel trattamento della xantomatosi cerebrotendinea o di altre malattie che interessano la produzione di acidi biliari primari.

Chenodeoxycholic acid Leadiant è disponibile in compresse (da 250 mg) da assumere tre volte al giorno all'incirca alla stessa ora. La dose giornaliera viene decisa e aggiustata nel corso del trattamento in base all'età, alla funzionalità epatica e ai livelli ematici e urinari di acidi biliari di ciascun paziente. Per neonati e bambini che non possono deglutire capsule, il contenuto di queste ultime può essere aggiunto a una soluzione di bicarbonato di sodio 8,4 % per costituire un liquido.

Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

## **Come agisce Chenodeoxycholic acid Leadiant?**

L'acido chenodeossicolico è uno dei principali acidi biliari primari prodotti dal fegato. L'acido chenodeossicolico contenuto in questo medicinale sostituisce quello mancante nell'organismo del paziente. Ciò contribuisce a ridurre la produzione di sostanze anomale e favorisce la normale attività della bile nel sistema digestivo, alleviando i sintomi della malattia.

## **Quali benefici di Chenodeoxycholic acid Leadiant sono stati evidenziati negli studi?**

Chenodeoxycholic acid Leadiant è stato analizzato in uno studio che ha esaminato le documentazioni di 35 pazienti affetti da xantomatosi cerebrotendinea e trattati con acido chenodeossicolico per circa nove anni. Su 23 pazienti per cui erano disponibili dati relativi ai livelli ematici degli acidi biliari, tutti presentavano una riduzione dei loro livelli (riduzione media di 56–69  $\mu\text{mol/l}$ ). Su 14 pazienti per cui erano disponibili dati relativi ai livelli urinari di acidi biliari, il 79 % (11 su 14) presentava livelli ridotti nell'analisi più recente. La maggior parte dei pazienti presentava anche un alleviamento dei sintomi della malattia: tutti riferivano una riduzione della diarrea, l'89 % dei pazienti mostrava un miglioramento delle facoltà mentali, il 60 % dei pazienti presentava un miglioramento nella mobilità, mentre l'85 % e il 77 % dei pazienti mostravano un miglioramento psichiatrico sulla base di due diversi punteggi.

## **Quali sono i rischi associati a Chenodeoxycholic acid Leadiant?**

Gli effetti indesiderati osservati con Chenodeoxycholic acid Leadiant sono stipsi e valori anomali del test della funzionalità epatica; tuttavia, non è stato possibile ottenere una stima affidabile della loro frequenza in ragione di dati limitati a disposizione. Tali effetti erano lievemente o moderatamente severi e non durevoli.

Per l'elenco completo delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

## **Perché Chenodeoxycholic acid Leadiant è approvato?**

L'acido chenodeossicolico è usato per trattare la xantomatosi cerebrotendinea da circa 40 anni, benché non autorizzato per tale uso. Tuttavia, considerata la rarità della malattia, i dati a disposizione sull'uso del medicinale sono ancora limitati. Ciononostante, gli studi hanno mostrato che il medicinale ha effetti benefici sui pazienti e non causa effetti indesiderati significativi. Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha pertanto deciso che i benefici di Chenodeoxycholic acid Leadiant sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE.

Chenodeoxycholic acid Leadiant è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete su Chenodeoxycholic acid Leadiant a causa della rarità della malattia. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni disponibili e questo riassunto sarà aggiornato di conseguenza.

## **Quali informazioni sono ancora attese per Chenodeoxycholic acid Leadiant?**

Poiché Chenodeoxycholic acid Leadiant è stato approvato in circostanze eccezionali, la ditta che lo commercializza creerà un registro per monitorarne i benefici e la sicurezza.

## **Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Chenodeoxycholic acid Leadiant?**

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Chenodeoxycholic acid Leadiant sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

## **Altre informazioni su Chenodeoxycholic acid Leadiant**

Il 10 aprile 2017 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Chenodeoxycholic acid sigma-tau, valida in tutta l'Unione europea. La denominazione del medicinale è stata cambiata in Chenodeoxycholic acid Leadiant il 12 maggio 2017.

Per la versione completa dell'EPAR di Chenodeoxycholic acid Leadiant consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Chenodeoxycholic acid Leadiant, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Chenodeoxycholic acid Leadiant è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 06-2017.