



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## **EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai**

---

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

## henodeoksiholskābe

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Chenodeoxycholic acid Lediant*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra ir vērtējusi šīs zāles, lai ieteiktu to reģistrāciju Eiropas Savienībā un sniegtu lietošanas nosacījumus. Tas nav paredzēts, lai sniegtu praktiskus ieteikumus par *Chenodeoxycholic acid Lediant* lietošanu.

Lai saņemtu praktisku informāciju par *Chenodeoxycholic acid Lediant* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsažinās ar ārstu vai farmaceitu.

## **Kas ir *Chenodeoxycholic acid Lediant* un kāpēc tās lieto?**

*Chenodeoxycholic acid Lediant* ir zāles, kas satur aktīvo vielu henodeoksiholskābi. Tā ir "primārā žultsskābe", t. i., galvenā žults (aknās sintezēta šķidrums, kas palīdz sagremot taukus) sastāvdaļa.

*Chenodeoxycholic acid Lediant* lieto, lai ārstētu pieaugušos un bērnus no viena mēneša vecuma ar cerebrotendinozo ksantomatozi. Šiem pacientiem ģenētiskas patoloģijas dēļ netiek pietiekamā daudzumā sintezēta primārā žultsskābe, kā rezultātā iestājas enzīmu sterīna 27 hidroksilāzes trūkums. Ja trūkst primāro žultsskābju, organismā tiek sintezētas patoloģiskas žultsskābes un citas vielas, kas uzkrājas visā organismā un var radīt bojājumus.

Tā kā pacientu ar šiem veselības traucējumiem skaits ir neliels, šo slimību uzskata par retu, un 2014. gada 16. decembrī *Chenodeoxycholic acid Lediant* tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai.

*Chenodeoxycholic acid Lediant* ir "hibrīdzāles". Tas nozīmē, ka tās ir līdzīgas atsauces zālēm, kas satur tādu pašu aktīvo vielu. *Chenodeoxycholic acid Lediant* atsauces zāles ir *Xenbilox*. Tomēr

---

<sup>1</sup> Iepriekš pazīstamas kā *Chenodeoxycholic acid sigma-tau*



Xenbilox atšķiras no Chenodeoxycholic acid Leadiant ar to, ka tās ir reģistrētas citai lietošanai (holesterīna žultsakmeņu šķīdināšanai).

## **Kā lieto *Chenodeoxycholic acid Leadiant*?**

*Chenodeoxycholic acid Leadiant* var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi cerebrotendinozās ksantomatozes vai citu ar primāro žultsskābju sintēzi saistītu slimību diagnostikā un ārstēšanā.

*Chenodeoxycholic acid Leadiant* ir pieejamas kā kapsulas (250 mg), ko ieņem trīs reizes dienā apmēram vienā un tajā pašā laikā katru dienu. Dienas devu izvēlas un pielāgo ārstēšanas laikā katram pacientam atkarībā no vecuma, aknu darbības, žultsskābju līmeņa asinīs un urīnā. Maziem bērniem un bērniem, kas nevar norīt kapsulas, kapsulu saturu var pievienot 8,4 % nātrija hidrogēnkarbonāta šķīdumam, lai pagatavotu šķīdumu.

Sīkāku informāciju skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

## **Kā *Chenodeoxycholic acid Leadiant* darbojas?**

Henodeoksiholskābe ir viena no galvenajām aknās sintezētajām primārajām žultsskābēm. Šo zāļu sastāvā esošā henodeoksiholskābe aizstāj pacientam trūkstošo henodeoksiholskābi. Tas palīdz mazināt patoloģisku vielu sintēzi un veicina normālu žults darbību gremošanas sistēmā, tādējādi mazinot šīs slimības simptomus.

## **Kādi *Chenodeoxycholic acid Leadiant* ieguvumi bija uzrādīti pētījumos?**

*Chenodeoxycholic acid Leadiant* tika pētītas pētījumā, kurā izvērtēja tādu 35 pacientu ar cerebrotendinozo ksantomatozi uzskaites datus, kuri saņēma henodeoksiholskābi aptuveni deviņus gadus. Visiem 23 pacientiem, par kuriem bija pieejami dati par žultsskābju līmeni asinīs, novēroja līmeņa samazināšanos (vidēji par 56-69 μmol/l). No 14 pacientiem, par kuriem bija pieejami dati par žultsskābju līmeni urīnā, 79 % (11 no 14) pacientu pēdējā testā novēroja šī līmeņa samazināšanos. Lielākajai daļai pacientu novēroja arī slimības simptomu samazināšanos — visi pacienti ziņoja par caurejas mazināšanos, 89 % pacientu uzrādīja garīgo spēju uzlabošanos, 60 % pacientu uzrādīja kustību uzlabošanos un 85 % un 77 % pacientu uzrādīja nervu sistēmas uzlabošanos, kuru pamatā bija divi dažādi rādītāji.

## **Kāds risks pastāv, lietojot *Chenodeoxycholic acid Leadiant*?**

Ar *Chenodeoxycholic acid Leadiant* novērotās blakusparādības ir aizcietējums un patoloģiskas izmaiņas aknu analīžu rezultātos, tomēr to biežumu ticami noteikt nevarēja, izmantojot pieejamos ierobežotos datus. Tās bija vieglas vai vidēji smagas un nebija ilgstošas.

Pilnu ierobežojumu sarakstu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

## **Kāpēc *Chenodeoxycholic acid Leadiant* tika apstiprinātas?**

Henodeoksiholskābe tika izmantota cerebrotendinozās ksantomatozes ārstēšanai aptuveni 40 gadus, lai gan šādai lietošanai tā nebija reģistrēta. Tomēr, tā kā slimība ir reta, pieejamie dati par zāļu lietošanu joprojām ir ierobežoti. Tomēr pētījumi liecina, ka zāles sniedz ieguvumu pacientiem un neizraisa būtiskas blakusparādības. Aģentūras Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) nolēma, ka ieguvums, lietojot *Chenodeoxycholic acid Leadiant*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica apstiprināt šīs zāles lietošanai ES.

*Chenodeoxycholic acid Leadiant* ir reģistrētas "izņēmuma kārtā". Tas nozīmē, ka šīs slimības retuma dēļ nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Chenodeoxycholic acid Leadiant*. Eiropas Zāļu aģentūra katru gadu pārbaudīs visu pieejamo jauno informāciju un vajadzības gadījumā atjauninās šo kopsavilkumu.

### **Kāda informācija par *Chenodeoxycholic acid Leadiant* vēl ir sagaidāma?**

Tā kā *Chenodeoxycholic acid Leadiant* ir reģistrētas izņēmuma kārtā, uzņēmums, kas zāles piedāvā tirgū, uzraudzīs šo zāļu ieguvumus un drošumu, izveidojot pacientu reģistru.

### **Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Chenodeoxycholic acid Leadiant* lietošanu?**

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Chenodeoxycholic acid Leadiant* lietošanu.

### **Cita informācija par *Chenodeoxycholic acid Leadiant***

Eiropas Komisija 2017. gada 10. aprīlī izsniedza *Chenodeoxycholic acid sigma-tau* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā. Zāļu nosaukumu 2016. gada 12. maijā nomainīja uz *Chenodeoxycholic acid Leadiant*.

Pilns *Chenodeoxycholic acid Leadiant* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Lai saņemtu sīkāku informāciju par ārstēšanu ar *Chenodeoxycholic acid Leadiant*, izlasiet zāļu lietošanas instrukciju (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinieties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Chenodeoxycholic acid Leadiant* ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 6.2017.