



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Chenodeoxycholic acid Lediand¹

aċidu ċenodeossikoliku

Dan huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Chenodeoxycholic acid Lediand. Dan jispjega kif l-Aġenzija vvalutat il-medicina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni tagħha fl-UE u l-kondizzjonijiet ta' użu tagħha. Dan mhux intiż biex jipprovdi konsultazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Chenodeoxycholic acid Lediand.

Għal informazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Chenodeoxycholic acid Lediand, il-pazjenti għandhom jaqraw il-fuljett ta' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew lill-ispizjar tagħhom.

X' inhu Chenodeoxycholic acid Lediand u għal xiex jintuża?

Chenodeoxycholic acid Lediand huwa medicina li fiha s-sustanza attiva aċidu ċenodeossikoliku. Dan huwa 'aċidu biljari primarju', li huwa komponent ewlieni tal-bili (fluwidu prodott mill-fwied li jgħin sabiex ix-xaħam jiġi diġestit).

Chenodeoxycholic acid Lediand jintuża għall-kura ta' adulti u tfal mill-età ta' xahar li jkollhom ksantomatozi ċerebrotendinja (cerebrotendinous xanthomatosis). Dawn il-pazjenti ma jistgħux jipproduċu biżżejjed mill-aċidu biljari primarju, l-aċidu ċenodeossikoliku, minħabba anormalitajiet ġenetiċi bir-riżultat ta' nuqqas tal-enzima tal-fwied l-idrossilazi steroli 27. Meta jkun hemm nuqqas ta' aċidi biljari primarji, il-ġisem jipproduċi minflok aċidi biljari anormali u sustanzi oħra li jakkumulaw mal-ġisem kollu, fejn jikkawżaw ħsara.

Peress li l-għadd ta' pazjenti b' din il-kondizzjoni huwa wieħed baxx, il-marda hija kkunsidrata 'rari', u Chenodeoxycholic acid Lediand ġie kklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina użata f' mard rari) fis-16 ta' Diċembru 2014.

¹ Preċedentement magħruf bħala Chenodeoxycholic acid sigma-tau.



Chenodeoxycholic acid Leadiant huwa 'medicina ibrida'. Dan ifisser li huwa simili għal 'medicina ta' referenza' msejja li fiha l-istess sustanza attiva. Il-medicina ta' referenza għal Chenodeoxycholic acid Leadiant hija Xenbilox. Madankollu, Xenbilox huwa differenti minn Chenodeoxycholic acid Leadiant minhabba li huwa awtorizza għal użu differenti (biex jinħallu l-ġebel fil-marrara kkawżati mill-kolesterol).

Kif jintuża Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Chenodeoxycholic acid Leadiant jista' jinkiseb biss b' riċetta ta' tabib u l-kura għandha tinbeda u tiġi sorveljata minn tabib li jkollu esperjenza fil-kura ta' ksantomatozi ċerebrotendinja jew mard ieħor prodott mill-aċidu biljari primarju.

Chenodeoxycholic acid Leadiant jiġi bħala kapsuli (250 mg) li jittiehdu 3 darbiet kuljum, kważi fl-istess ħin kuljum. Id-doża ta' kuljum tintgħazel u tiġi aġġustata matul il-kura għal kull pazjent skont l-età tal-pazjent, il-funzjoni tal-fwied u l-livelli tal-aċidi biljari fid-demm u fl-awrina tagħhom. Għal tfal żgħir u tfal li ma jistgħux jibilgħu kapsuli, il-kontenuti tal-kapsuli jistgħu jithalltu ma' soluzzjoni ta' 8.4% ta' bikarbonat tas-sodju biex jifforma likwidu.

Għal iktar informazzjoni, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Kif jaħdem Chenodeoxycholic acid Leadiant?

L-aċidu ċenodeossikoliku huwa wieħed mill-aċidi biljari primarji ewlenin prodotti mill-fwied. L-aċidu ċenodeossikoliku li jinsab f' din il-medicina jissostitwixxi l-aċidu ċenodeossikoliku nieqes fil-pazjent. Dan jgħin sabiex titnaqqas il-produzzjoni tas-sustanzi anormali u jikkontribwixxi għall-attività normali tal-bili fis-sistema diġestiva, b' hekk jitnaqqas s-sintomi tal-marda.

X' inhum l-benefiċċji ta' Chenodeoxycholic acid Leadiant li ħarġu mill-istudji?

Chenodeoxycholic acid Leadiant ġie investigat fi studju li ħares lejn ir-rekords ta' 35 pazjent bi ksantomatozi ċerebrotendinja li rċewew aċidu ċenodeossikoliku għal madwar 9 snin. Fost 23 pazjent li dwarhom kien hemm disponibbli data rigward il-livelli tad-demm ta' aċidi biljali, kollha kellhom tnaqqis fil-livelli tagħhom (tnaqqis medju ta' 56–69 µmol/l). Fost 14-il pazjent li dwarhom kien hemm disponibbli data rigward il-livelli tal-urina ta' aċidi biljali, 79% (11 minn 14) kellhom livelli mnaqqa fit-test l-aktar reċenti tagħhom. Il-biċċa l-kbira tal-pazjenti kellhom ukoll titjib fis-sintomi tal-marda: kollha rrapportaw titjib fid-dijarea, 89% tal-pazjenti wrew titjib fil-hila mentali tagħhom, 60% tal-pazjenti wrew titjib fil-mobbiltà, u 85% u 77% tal-pazjenti wrew titjib psikjatriku bbażat fuq żewġ punteġġi differenti.

X' inhum r-riskji assoċjati ma' Chenodeoxycholic acid Leadiant?

L-effetti sekondarji li ntwerew bi Chenodeoxycholic acid Leadiant huma stitikezza u valuri anormali fit-test tal-fwied; madankollu l-frekwenza tagħhom ma setgħetx tiġi stmata b' mod affidabbli mid-data limitata disponibbli. Kienu ħfief jew moderati fis-severità u ma baqgħux jeżistu.

Għal-lista sħiħa ta' restrizzjonijiet, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex ġie approvat Chenodeoxycholic acid Leadiant?

L-aċidu ċenodeossikoliku ilu jintuża għall-kura ta' ksantomatozi ċerebrotendinja għal madwar 40 sena, għalkemm ma kienx liċenzjat għal dan l-użu. Madankollu, minhabba r-rarità tal-marda, xorta

għad hemm data limitata disponibbli dwar l-użu tal-medicina. Madankollu, l-istudji wrew li l-pazjenti jibbenefikaw mill-medicina u li din ma għandha l-ebda effett sekondarju sinifikanti. Għalhekk, il-Kumitat għall-Prodotti Medicinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) tal-Aġenzija ddecieda li l-benefiċċji ta' Chenodeoxycholic acid Leadiant huma akbar mir-riskji tiegħu u rrakkomanda li jkun approvat għall-użu fl-UE.

Chenodeoxycholic acid Leadiant ġie awtorizzat taħt 'ċirkostanzi ta' eċċezzjoni'. Dan minħabba li ma kienx possibbli li tinkiseb informazzjoni kompluta dwar Chenodeoxycholic acid Leadiant minħabba r-rarità tal-marda. Kull sena, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini ser tirrieżamina kwalunkwe informazzjoni ġdida li ssir disponibbli u dan is-sommarju jiġi aġġornat kif meħtieġ.

Liema informazzjoni għadha mistennija għal Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Peress li Chenodeoxycholic acid Leadiant ġie approvat taħt ċirkostanzi ta' eċċezzjoni, il-kumpanija li tqiegħed din il-medicina fis-suq ser tistabbilixxi regjistru għas-sorveljanza tal-benefiċċji u tas-sigurtà tal-medicina.

X' mizuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Chenodeoxycholic acid Leadiant.

Aktar informazzjoni dwar Chenodeoxycholic acid Leadiant

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha għal Chenodeoxycholic acid sigma-tau fl-10 ta' April 2017. L-isem tal-prodott inbidel u sar Chenodeoxycholic acid Leadiant fit-12 ta' Mejju 2017.

L-EPAR sñiħ għal Chenodeoxycholic acid Leadiant jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Għal aktar informazzjoni dwar il-kura b' Chenodeoxycholic acid Leadiant, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Medicinali Orfni għal Chenodeoxycholic acid Leadiant jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Dan is-sommarju ġie aġġornat l-aħħar f' 06-2017.