



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Chenodeoxycholic acid Lediant¹

chenodeoxycholzuur

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Chenodeoxycholic acid Lediant. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Chenodeoxycholic acid Lediant.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Chenodeoxycholic acid Lediant.

Wat is Chenodeoxycholic acid Lediant en wanneer wordt het voorgeschreven?

Chenodeoxycholic acid Lediant is een geneesmiddel dat de werkzame stof chenodeoxycholzuur bevat. Dit is een 'primaire galzuur', een hoofdbestanddeel van gal (een vloeistof die door de lever wordt aangemaakt en helpt bij de vertering van vetten).

Chenodeoxycholic acid Lediant wordt gebruikt voor de behandeling van volwassenen en kinderen vanaf één maand met cerebrotendineuze xanthomatose. Deze patiënten kunnen niet genoeg van het primaire galzuur chenodeoxycholzuur aanmaken als gevolg van genetische afwijkingen die leiden tot een tekort aan het leverenzym sterol-27-hydroxylase. Bij een tekort aan primaire galzuren maakt het lichaam in plaats hiervan afwijkende galzuren en andere stoffen aan die zich in het hele lichaam ophopen en schade veroorzaken.

¹ Voorheen bekend onder de naam Chenodeoxycholic acid sigma-tau.



Aangezien het aantal patiënten met deze aandoening klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Chenodeoxycholic acid Leadiant op 16 december 2014 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Chenodeoxycholic acid Leadiant is een 'hybride geneesmiddel'. Dit betekent dat het vergelijkbaar is met een 'referentiegeneesmiddel' dat dezelfde werkzame stof bevat. Het referentiegeneesmiddel voor Chenodeoxycholic acid Leadiant is Xenbilox. Xenbilox verschilt echter van Chenodeoxycholic acid Leadiant in die zin dat het is toegelaten voor een andere toepassing (om cholesterolgalstenen op te lossen).

Hoe wordt Chenodeoxycholic acid Leadiant gebruikt?

Chenodeoxycholic acid Leadiant is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart en gecontroleerd door een arts die ervaring heeft met de behandeling van cerebrotendineuze xanthomatose of andere aandoeningen in verband met de aanmaak van primaire galzuren.

Chenodeoxycholic acid Leadiant is verkrijgbaar in de vorm van capsules (250 mg) die driemaal daags op ongeveer hetzelfde tijdstip moeten worden ingenomen. De dagelijkse dosis wordt per patiënt vastgesteld en tijdens de behandeling aangepast aan de hand van de leeftijd en de leverfunctie van de patiënt en de concentraties galzuren in hun bloed en urine. Voor kleine kinderen en kinderen die geen capsules kunnen slikken, kan de inhoud worden vermengd met natriumbicarbonaatoplossing 8,4% om een vloeistof te maken.

Zie de bijsluiter voor meer informatie.

Hoe werkt Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Chenodeoxycholic acid Leadiant is een van de belangrijkste primaire galzuren die door de lever worden aangemaakt. Het chenodeoxycholzuur in dit geneesmiddel vervangt het chenodeoxycholzuur dat ontbreekt bij de patiënt. Dit helpt de aanmaak van abnormale galzuren te verminderen en draagt bij aan de normale werking van gal in het spijsverteringsstelsel, waardoor de symptomen van de aandoening worden verminderd.

Welke voordelen bleek Chenodeoxycholic acid Leadiant tijdens de studies te hebben?

Chenodeoxycholic acid Leadiant is onderzocht in een studie waarbij werd gekeken naar de dossiers van 35 patiënten met cerebrotendineuze xanthomatose die ongeveer negen jaar lang chenodeoxycholzuur kregen toegediend. Bij 23 patiënten van wie gegevens over de concentratie galzuren in het bloed beschikbaar waren, trad een verlaging van de concentratie op (gemiddelde verlaging van 56–69 µmol/l). Onder 14 patiënten van wie gegevens over de concentratie galzuren in de urine beschikbaar waren, trad bij 79% (11 van de 14) een verlaging van de concentratie op bij hun meest recente test. Bij de meeste patiënten trad ook een vermindering op van de symptomen van de ziekte: alle patiënten meldden een vermindering van diarree, bij 89% van de patiënten trad een verbetering op van hun geestelijke vermogens, bij 60% van de patiënten trad een verbetering op van de mobiliteit en op basis van twee verschillende scores was bij respectievelijk 85% en 77% van de patiënten sprake van psychische verbeteringen.

Welke risico's houdt het gebruik van Chenodeoxycholic acid Leadiant in?

De bijwerkingen die optraden bij Chenodeoxycholic acid Leadiant zijn constipatie en abnormale leverfunctietestwaarden; op basis van de beperkte beschikbare gegevens kon echter geen betrouwbare schatting worden gemaakt van de frequentie ervan. Deze bijwerkingen waren licht of matig van aard en hielden niet aan.

Zie de bijsluiter voor de beschrijving van de beperkende voorwaarden.

Waarom is Chenodeoxycholic acid Leadiant goedgekeurd?

Chenodeoxycholic acid wordt al zo'n veertig jaar gebruikt bij de behandeling van cerebrotendineuze xanthomatose, hoewel het niet was goedgekeurd voor dit gebruik. Wegens de zeldzaamheid van de ziekte zijn er echter nog steeds slechts beperkte gegevens over het gebruik van het geneesmiddel beschikbaar. Desalniettemin hebben onderzoeken aangetoond dat patiënten baat hebben bij het geneesmiddel en dat er geen significante bijwerkingen optreden. Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Geneesmiddelenbureau heeft derhalve geconcludeerd dat de voordelen van Chenodeoxycholic acid Leadiant groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd dit middel voor gebruik in de EU goed te keuren.

Chenodeoxycholic acid Leadiant is goedgekeurd onder 'uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Chenodeoxycholic acid Leadiant te verkrijgen. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Aangezien aan Chenodeoxycholic acid Leadiant goedkeuring onder uitzonderlijke omstandigheden is verleend, zal het bedrijf dat dit geneesmiddel in de handel brengt een register opzetten om de voordelen en veiligheid van het geneesmiddel te controleren.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Chenodeoxycholic acid Leadiant te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Chenodeoxycholic acid Leadiant, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Overige informatie over Chenodeoxycholic acid Leadiant

De Europese Commissie heeft op 10 april 2017 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Chenodeoxycholic acid sigma-tau verleend. De naam van het geneesmiddel werd op 12 mei 2017 gewijzigd in Chenodeoxycholic acid Leadiant.

Het volledige EPAR voor Chenodeoxycholic acid Leadiant is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Chenodeoxycholic acid Leadiant.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Chenodeoxycholic acid Leadiant is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 06-2017.