



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Chenodeoxycholic acid Leadiant¹

kwas chenodeoksycholowy

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego produktu Chenodeoxycholic acid Leadiant. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Chenodeoxycholic acid Leadiant.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Chenodeoxycholic acid Leadiant należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest produkt Chenodeoxycholic acid Leadiant i w jakim celu się go stosuje?

Chenodeoxycholic acid Leadiant jest lekiem, który zawiera substancją czynną kwas chenodeoksycholowy. Jest to „pierwotny kwas żółciowy”, który jest głównym składnikiem żółci (produkowanego przez wątrobę płynu, który pomaga trawić tłuszcze).

Chenodeoxycholic acid Leadiant jest stosowany w leczeniu osób dorosłych i dzieci w wieku od 1 miesiąca życia z ksantomatozą mózgowo-ścięgienistą. Z powodu nieprawidłowości genetycznych ich organizmy nie są w stanie produkować wystarczającej ilości pierwotnego kwasu żółciowego – kwasu chenodeoksycholowego, co skutkuje niedoborem enzymu wątrobowego – 27-hydroksylazy sterolowej. Przy niedostatecznej ilości pierwotnych kwasów żółciowych zamiast nich organizm produkuje nieprawidłowe kwasy żółciowe i inne substancje, które kumulują się w organizmie, powodując jego uszkodzenia.

¹ Znany wcześniej pod nazwą Chenodeoxycholic acid sigma-tau



Ze względu na małą liczbę pacjentów z tą chorobą, jest ona uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 16 grudnia 2014 r. produkt Chenodeoxycholic acid Leadiant uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Chenodeoxycholic acid Leadiant jest lekiem hybrydowym. Oznacza to, że jest on podobny do leku referencyjnego zawierającego tę samą substancję czynną. Lekiem referencyjnym dla produktu Chenodeoxycholic acid Leadiant jest Xenbilox. Xenbilox różni się jednak od leku Chenodeoxycholic acid Leadiant tym, że jest zatwierdzony do innego zastosowania (rozpuszczania cholesterolowych kamieni żółciowych).

Jak stosować produkt Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Chenodeoxycholic acid Leadiant jest dostępny wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz doświadczony w rozpoznawaniu i leczeniu ksantomatozy mózgowo-ścięgniastej lub innych chorób związanych z produkcją pierwotnych kwasów żółciowych.

Chenodeoxycholic acid Leadiant jest dostępny w postaci kapsułek (250 mg), które przyjmuje się trzy razy na dobę, każdego dnia mniej więcej o tej samej porze. Dawkę dobową dobiera się indywidualnie dla każdego pacjenta i dostosowuje w trakcie leczenia w zależności od jego wieku, czynności wątroby i poziomu kwasów żółciowych w krwi i moczu. W przypadku małych dzieci i dzieci, które nie potrafią połykać kapsułek, zawartość kapsułki można wymieszać z roztworem wodorowęglanu sodowego o stężeniu 8,4%, aby otrzymać ciecz.

Więcej informacji znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Jak działa produkt Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Kwas chenodeoksycholowy to jeden z głównych podstawowych kwasów żółciowych wytwarzanych przez wątrobę. Kwas chenodeoksycholowy zawarty w tym leku zastępuje kwas chenodeoksycholowy, którego brakuje w organizmie pacjenta. Pomaga to ograniczyć wytwarzanie nieprawidłowych substancji i przyczynia się do prawidłowej aktywności żółci w układzie trawiennym, łagodząc w ten sposób objawy choroby.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Chenodeoxycholic acid Leadiant zaobserwowano w badaniach?

W ramach badania leku Chenodeoxycholic acid Leadiant poddano analizie dokumentację medyczną 35 pacjentów z ksantomatozą mózgowo-ścięgniastą, którzy przyjmowali lek przez około 9 lat. W grupie 23 pacjentów, dla których dostępne były dane dotyczące poziomu kwasów żółciowych we krwi, u wszystkich poziom ich był obniżony (średnio o 56–69 $\mu\text{mol/l}$). W grupie 14 pacjentów, dla których dostępne były dane dotyczące poziomu kwasów żółciowych w moczu, u 79% (u 11 z 14 osób) ostatnie badanie wykazało obniżenie ich poziomu. U większości pacjentów również objawy choroby zostały złagodzone: wszyscy zgłosili złagodzenie objawów biegunki, u 89% pacjentów nastąpiła poprawa zdolności umysłowych, u 60% – sprawności ruchowej, a u 85% i 77% zaobserwowano poprawę stanu psychicznego ocenianą na podstawie dwóch różnych systemów punktacji.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Działania niepożądane obserwowane w związku ze stosowaniem leku Chenodeoxycholic acid Leadiant to zaparcia i nieprawidłowe wartości prób czynnościowych wątroby; jednak wiarygodne oszacowanie

częstości ich występowania na podstawie dostępnych ograniczonych danych nie było możliwe. Ich nasilenie było łagodne lub umiarkowane i nie trwały one długo.

Pełny wykaz ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Kwas chenodeoksycholowy stosuje się w leczeniu ksantomatozy mózgowo-ścięgniastej od około 40 lat, mimo że takie jego zastosowanie nie zostało zatwierdzone. Jednak ze względu na rzadkie występowanie choroby ilość dostępnych danych dotyczących stosowania tego leku jest nadal ograniczona. Niemniej badania wykazały, że jest on korzystny dla pacjentów i nie wykazuje znaczących działań niepożądanych. Dlatego Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Chenodeoxycholic acid Leadiant przewyższają ryzyko, i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE.

Chenodeoxycholic acid Leadiant dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Chenodeoxycholic acid Leadiant z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze sprawozdanie.

Jakich informacji brakuje jeszcze na temat produktu Chenodeoxycholic acid Leadiant?

W związku z tym, że produkt Chenodeoxycholic acid Leadiant dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca ten lek do obrotu założy rejestr w celu monitorowania korzyści i bezpieczeństwa leku.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Chenodeoxycholic acid Leadiant?

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Chenodeoxycholic acid Leadiant w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Inne informacje dotyczące produktu Chenodeoxycholic acid Leadiant

W dniu 10 kwietnia 2017 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Chenodeoxycholic acid sigma-tau do obrotu, ważne w całej Unii Europejskiej. W dniu 12 maja 2017 r. nazwę leku zmieniono na Chenodeoxycholic acid Leadiant.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Chenodeoxycholic acid Leadiant znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Chenodeoxycholic acid Leadiant należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Chenodeoxycholic acid Leadiant znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Data ostatniej aktualizacji: 06.2017.