



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumo do EPAR destinado ao público

Ácido quenodesoxicólico Leadiant¹

ácido quenodesoxicólico

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Ácido quenodesoxicólico Leadiant. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Ácido quenodesoxicólico Leadiant.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Ácido quenodesoxicólico Leadiant, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

O que é o Ácido quenodesoxicólico Leadiant e para que é utilizado?

O Ácido quenodesoxicólico Leadiant é um medicamento que contém a substância ativa ácido quenodesoxicólico. Trata-se de um «ácido biliar primário», que é um componente principal da bÍlis (um líquido segregado pelo fígado que ajuda na digestão das gorduras).

O Ácido quenodesoxicólico Leadiant é utilizado no tratamento de adultos e crianças a partir de um mês de idade com xantomatose cerebrotendinosa. Estes doentes não produzem quantidade suficiente de ácido quenodesoxicólico, um ácido biliar primário, devido a anomalias genéticas que resultam numa deficiência da enzima hepática esterol 27-hidroxilase. Quando faltam estes ácidos biliares primários, o organismo produz ácidos biliares anormais e outras substâncias que se acumulam no organismo, causando lesões.

Dado o número de doentes afetados por xantomatose cerebrotendinosa ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Ácido quenodesoxicólico Leadiant foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 16 de dezembro de 2014.

¹ Anteriormente designado Ácido quenodesoxicólico sigma-tau.



O Ácido quenodesoxicólico Leadiant é um medicamento híbrido, o que significa que é similar a um medicamento de referência que contém a mesma substância ativa. O medicamento de referência do Ácido quenodesoxicólico Leadiant é o Xenbilox. No entanto, o Xenbilox diferencia-se do Ácido quenodesoxicólico Leadiant na medida em que está autorizado para um uso diferente (para dissolver cálculos biliares de colesterol).

Como se utiliza o Ácido quenodesoxicólico Leadiant?

O Ácido quenodesoxicólico Leadiant só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento da xantomatose cerebrotendinosa ou de outras doenças relacionadas com a produção de ácidos biliares primários.

O Ácido quenodesoxicólico Leadiant está disponível na forma de cápsulas (250 mg) para tomar três vezes por dia, aproximadamente à mesma hora todos os dias. A dose diária é escolhida e ajustada durante o tratamento de cada doente, em função da idade do doente, da função hepática e dos níveis de ácidos biliares no seu sangue e na urina. No caso das crianças pequenas e das crianças que não conseguem engolir cápsulas, o conteúdo das mesmas pode ser misturado com uma solução de bicarbonato de sódio a 8,4 % para obter um líquido.

Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

Como funciona o Ácido quenodesoxicólico Leadiant?

O ácido quenodesoxicólico é um dos principais ácidos biliares primários produzidos pelo fígado. O ácido quenodesoxicólico contido neste medicamento substitui o ácido quenodesoxicólico em falta no doente. Isto ajuda a reduzir a produção de substâncias anormais e contribui para a atividade normal da bília no sistema digestivo, aliviando, desta forma, os sintomas da doença.

Quais os benefícios demonstrados pelo Ácido quenodesoxicólico Leadiant durante os estudos?

O Ácido quenodesoxicólico Leadiant foi investigado num estudo que examinou os registos de 35 doentes com xantomatose cerebrotendinosa que receberam ácido quenodesoxicólico durante cerca de 9 anos. Em 23 doentes, relativamente aos quais estavam disponíveis dados sobre os níveis sanguíneos de ácidos biliares, todos registaram reduções destes valores (redução média de 56-69 µmol/l). Em 14 doentes relativamente aos quais estavam disponíveis dados sobre os níveis urinários de ácidos biliares, 79 % (11 em 14) apresentaram níveis reduzidos no exame mais recente. A maioria dos doentes registou também melhorias nos sintomas da doença: todos notificaram uma melhoria na diarreia, 89 % dos doentes apresentaram uma melhoria na sua capacidade mental, 60 % dos doentes apresentaram melhorias na sua mobilidade e, com base em dois sistemas diferentes de classificação, 85 % e 77 % dos doentes apresentaram melhorias a nível psiquiátrico.

Quais são os riscos associados ao Ácido quenodesoxicólico Leadiant?

Os efeitos secundários observados com o Ácido quenodesoxicólico Leadiant são obstipação (prisão de ventre) e valores anómalos nas análises de fígado; no entanto, não foi possível estimar adequadamente a sua frequência a partir dos dados limitados disponíveis. Estes efeitos secundários foram de gravidade ligeira ou moderada e de curta duração.

Para a lista completa de restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

Por que foi aprovado o Ácido quenodesoxicólico Leadiant?

O ácido quenodesoxicólico tem sido usado para o tratamento da xantomatose cerebrotendinosa durante cerca de 40 anos, embora não tenha sido aprovado para este fim. No entanto, devido à raridade da doença, os dados disponíveis sobre a utilização do medicamento ainda são limitados. Ainda assim, os estudos demonstraram que o medicamento beneficia os doentes e não tem efeitos secundários significativos. Por conseguinte, o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da Agência concluiu que os benefícios do Ácido quenodesoxicólico Leadiant são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE.

O Ácido quenodesoxicólico Leadiant foi autorizado em circunstâncias excecionais. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre o Ácido quenodesoxicólico Leadiant devido à raridade da doença. A Agência Europeia de Medicamentos (EMA) procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre o Ácido quenodesoxicólico Leadiant?

Dado o Ácido quenodesoxicólico Leadiant ter sido aprovado em circunstâncias excecionais, a empresa que comercializa este medicamento irá criar um registo para monitorizar os seus benefícios e a sua segurança.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Ácido quenodesoxicólico Leadiant?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz do Ácido quenodesoxicólico Leadiant.

Outras informações sobre o Ácido quenodesoxicólico Leadiant

Em 10 de abril de 2017, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Ácido quenodesoxicólico sigma-tau. O nome do medicamento foi alterado para Ácido quenodesoxicólico Leadiant em 12 de maio de 2017.

O EPAR completo relativo ao Ácido quenodesoxicólico Leadiant pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mais informações sobre o tratamento com o Ácido quenodesoxicólico Leadiant, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Ácido quenodesoxicólico Leadiant pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 06-2017.