



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Rezumat EPAR destinat publicului

---

# Acid chenodeoxicolic Leadiant<sup>1</sup>

## acid chenodeoxicolic

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Acidul chenodeoxicolic Leadiant. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Acidului chenodeoxicolic Leadiant.

Pentru informații practice privind utilizarea Acidului chenodeoxicolic Leadiant, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

## Ce este Acidul chenodeoxicolic Leadiant și pentru ce se utilizează?

Acidul chenodeoxicolic Leadiant este un medicament care conține substanța activă acid chenodeoxicolic. Acesta este un „acid biliar primar”, un constituent principal al bilei (un lichid produs de ficat care ajută la digerarea grăsimilor).

Acidul chenodeoxicolic Leadiant se utilizează în tratamentul xantomatozei cerebrotendinoase la adulți și copii începând cu vârsta de o lună. Acești pacienți nu pot produce suficient acid biliar primar – acid chenodeoxicolic – din cauza unor anomalii genetice care au drept rezultat deficitul enzimei hepatice sterol 27-hidroxilază. În lipsa acidului biliar primar, organismul produce acizi biliari anormali și alte substanțe care se acumulează în organism, cauzând leziuni.

Din cauza numărului mic de pacienți cu această afecțiune, boala este considerată „rară”, iar Acidul chenodeoxicolic Leadiant a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 16 decembrie 2014.

---

<sup>1</sup> Cunoscut anterior sub denumirea de Acid chenodeoxicolic sigma-tau.



Acidul chenodeoxicolic Leadiant este un „medicament hibrid”. Aceasta înseamnă că este similar cu un „medicament de referință” care conține aceeași substanță activă. Medicamentul de referință pentru Acidul chenodeoxicolic Leadiant este Xenbilox. Xenbilox diferă însă de Acidul chenodeoxicolic Leadiant prin faptul că este autorizat pentru o utilizare diferită (pentru dizolvarea calculilor biliari colesterolici).

### **Cum se utilizează Acidul chenodeoxicolic Leadiant?**

Acidul chenodeoxicolic Leadiant se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratarea xantomatozei cerebrotendinoase sau a altor afecțiuni legate de sinteza acidului biliar primar.

Acidul chenodeoxicolic Leadiant este disponibil sub formă de capsule (250 mg) care se administrează de 3 ori pe zi la aproximativ aceeași oră zilnic. Doza zilnică este aleasă și ajustată în timpul tratamentului pentru fiecare pacient în funcție de vârsta pacientului, de funcția hepatică și de concentrațiile de acizi biliari din sânge și din urină. Pentru copiii mici și copiii care nu pot înghiți capsule, conținutul acestora poate fi amestecat cu soluție de bicarbonat de sodiu 8,4 %, pentru a obține un medicament lichid.

Pentru mai multe informații, citiți prospectul.

### **Cum acționează Acidul chenodeoxicolic Leadiant?**

Acidul chenodeoxicolic este unul dintre principalii acizi biliari primari produși de ficat. Acidul chenodeoxicolic din acest medicament înlocuiește acidul similar care îi lipsește pacientului. Acest lucru ajută la reducerea producerii de substanțe anormale și contribuie la activitatea normală a bilei în sistemul digestiv, atenuând astfel simptomele bolii.

### **Ce beneficii a prezentat Acidul chenodeoxicolic Leadiant pe parcursul studiilor?**

Acidul chenodeoxicolic Leadiant a fost analizat într-un studiu care a urmărit fișele medicale a 35 de pacienți cu xantomatoză cerebrotendinoasă, cărora li s-a administrat acid chenodeoxicolic timp de aproximativ 9 ani. Toți cei 23 de pacienți pentru care au fost disponibile date despre concentrațiile de acizi biliari din sânge au prezentat scăderi ale acestor concentrații (scădere medie de 56–69  $\mu\text{mol/l}$ ). Din cei 14 pacienți pentru care au fost disponibile date despre concentrațiile de acizi biliari din urină, 79 % (11 din 14) au prezentat scăderi ale concentrațiilor la cea mai recentă analiză. De asemenea, la majoritatea pacienților s-au atenuat simptomele bolii: toți au raportat atenuarea stării diareice, 89 % din pacienți au prezentat o îmbunătățire a capacității mentale, 60 % din pacienți au prezentat o ameliorare a mobilității, iar 85 % și, respectiv, 77 % din pacienți au prezentat îmbunătățirea stării psihice, pe baza a două scoruri diferite.

### **Care sunt riscurile asociate cu Acidul chenodeoxicolic Leadiant?**

Reacțiile adverse observate în asociere cu Acidul chenodeoxicolic Leadiant sunt constipație și valori anormale ale analizelor hepatice; frecvența lor nu a putut fi însă estimată cu certitudine pe baza datelor limitate disponibile. Reacțiile adverse au avut o severitate ușoară până la moderată și nu au fost de durată.

Pentru lista completă de restricții, citiți prospectul.

## **De ce a fost aprobat Acidul chenodeoxicolic Leadiant?**

Acidul chenodeoxicolic se utilizează pentru tratarea xantomatozei cerebrotendinoase de aproximativ 40 de ani, deși nu a fost autorizat pentru această utilizare. Cu toate acestea, datele disponibile despre utilizarea medicamentului continuă să fie limitate, din cauza rarității bolii. Totuși, studiile au demonstrat că medicamentul prezintă beneficii pentru pacienți și nu provoacă reacții adverse semnificative. Prin urmare, Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a hotărât că beneficiile Acidului chenodeoxicolic Leadiant sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE.

Acidul chenodeoxicolic Leadiant a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Acidul chenodeoxicolic Leadiant. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va analiza orice informație nou apărută, iar prezentul rezumat va fi actualizat, după caz.

## **Ce informații se așteaptă în continuare despre Acidul chenodeoxicolic Leadiant?**

Având în vedere că Acidul chenodeoxicolic Leadiant a fost autorizat în circumstanțe excepționale, compania care comercializează acest medicament va crea un registru pentru a monitoriza beneficiile și siguranța medicamentului.

## **Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Acidul chenodeoxicolic Leadiant?**

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Acidului chenodeoxicolic Leadiant, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

## **Alte informații despre Acidul chenodeoxicolic Leadiant**

Comisia Europeană a acordat o autorizație de punere pe piață pentru Acidul chenodeoxicolic sigma-tau, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 10 aprilie 2017. Denumirea medicamentului a fost schimbată în Acid chenodeoxicolic Leadiant la 12 mai 2017.

EPAR-ul complet pentru Acidul chenodeoxicolic Leadiant este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Acid chenodeoxicolic Leadiant, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Acidul chenodeoxicolic Leadiant este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 06-2017.