



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Chenodeoxycholic acid Lediand¹

kyselina chenodeoxycholová

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Chenodeoxycholic acid Lediand. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Chenodeoxycholic acid Lediand.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Chenodeoxycholic acid Lediand, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je liek Chenodeoxycholic acid Lediand a na čo sa používa?

Chenodeoxycholic acid Lediand je liek, ktorý obsahuje účinnú látku kyselinu chenodeoxycholovú. Ide o primárnu žľčovú kyselinu, ktorá je hlavnou zložkou žlče (tekutiny vytvárané v pečeni, ktorá pomáha tráviť tuky).

Liek Chenodeoxycholic acid Lediand sa používa na liečbu dospelých a detí vo veku od jedného mesiaca s cerebrotendinóznou xantomatózou. Títo pacienti si nedokážu v dôsledku genetických abnormalít vytvárať dostatok primárnej žľchovej kyseliny, kyseliny chenodeoxycholovej, čo vedie k nedostatku pečňového enzýmu sterol 27-hydroxylázy. Keď nie sú prítomné primárne žľčové kyseliny, v tele sa namiesto toho vytvárajú abnormálne žľčové kyseliny a iné látky, ktoré sa hromadia v celom tele, čo spôsobuje poškodenie.

Keďže je počet pacientov s týmto ochorením nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a liek Chenodeoxycholic acid Lediand bol 16. decembra 2014 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

¹ Predtým známy ako Chenodeoxycholic acid sigma-tau



Liek Chenodeoxycholic acid Leadiant je tzv. hybridný liek. To znamená, že je podobný referenčnému lieku obsahujúcemu rovnakú účinnú látku. Referenčným liekom pre liek Chenodeoxycholic acid Leadiant je liek Xenbilox. Liek Xenbilox sa však odlišuje od lieku Chenodeoxycholic acid Leadiant v tom, že je povolený na iné použitie (na rozpustenie cholesterolových žlčových kameňov).

Ako sa liek Chenodeoxycholic acid Leadiant užíva?

Výdaj lieku Chenodeoxycholic acid Leadiant je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou cerebrotendinózne xantomatózy alebo iných ochorení vytvárania primárnych žlčových kyselín.

Liek Chenodeoxycholic acid Leadiant je k dispozícii vo forme kapsúl (250 mg), ktoré sa užívajú trikrát denne, každý deň približne v rovnakom čase. Denná dávka sa zvolí a upraví počas liečby v prípade každého pacienta v závislosti od veku pacienta, od funkcie pečene a od hladiny žlčových kyselín v krvi a v moči. V prípade malých detí a detí, ktoré nemôžu kapsuly prehltnúť, sa obsah kapsúl môže zmiešať s 8,4 % roztokom bikarbonátu sodného, čím sa vytvorí tekutina.

Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Akým spôsobom liek Chenodeoxycholic acid Leadiant účinkuje?

Kyselina chenodeoxycholová je jedna z hlavných primárnych žlčových kyselín, ktorá sa vytvára v pečeni. Kyselina chenodeoxycholová, ktorá sa nachádza v tomto lieku, nahrádza u pacienta chýbajúcu kyselinu chenodeoxycholovú. To pomáha znížiť tvorbu abnormálnych látok a prispieva k normálnemu pôsobeniu žlče v tráviacej sústave, čím sa príznaky ochorenia zmiernia.

Aké prínosy lieku Chenodeoxycholic acid Leadiant boli preukázané v štúdiách?

Liek Chenodeoxycholic acid Leadiant sa skúmal v štúdiu, v ktorej sa skúmali záznamy 35 pacientov s cerebrotendinóznou xantomatózou, ktorí užívali kyselinu chenodeoxycholovú asi 9 rokov. Z 23 pacientov, v prípade ktorých boli k dispozícii údaje o hladinách žlčových kyselín v krvi, sa u všetkých pacientov zistila znížená hladina (priemerné zníženie o 56–69 $\mu\text{mol/l}$). Zo 14 pacientov, v prípade ktorých boli k dispozícii údaje o hladinách žlčových kyselín v moči, u 79 % (11 zo 14 pacientov) sa zistila znížená hladina podľa najnovšieho testu. U väčšiny pacientov sa tiež zlepšili príznaky ochorenia: všetci uviedli zlepšenie hnačky, u 89 % pacientov sa zlepšili mentálne schopnosti, u 60 % pacientov sa zlepšila mobilita a u 85 % a 77 % pacientov sa pozorovalo psychické zlepšenie na základe dvoch odlišných skóre.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Vedľajšie účinky pozorované pri použití lieku Chenodeoxycholic acid Leadiant sú zápcha a abnormálne hodnoty pečeneových testov; ich frekvenciu však nemožno z dostupných obmedzených údajov spoľahlivo odhadnúť. Vedľajšie účinky boli miernej alebo strednej závažnosti a boli dočasné.

Zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Chenodeoxycholic acid Leadiant povolený?

Kyselina chenodeoxycholová sa používa na liečbu cerebrotendinózne xantomatózy asi 40 rokov, aj keď nebola schválená na toto použitie. Vzhľadom na zriedkavosť ochorenia sú však naďalej k dispozícii len obmedzené údaje o používaní lieku. V štúdiách sa však preukázalo, že liek je pre pacientov prínosom

a nemá žiadne významné vedľajšie účinky. Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry rozhodol, že prínosy lieku Chenodeoxycholic acid Leadiant sú väčšie ako riziká spojené s jeho užívaním a odporučil udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ.

Liek Chenodeoxycholic acid Leadiant bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Chenodeoxycholic acid Leadiant. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Chenodeoxycholic acid Leadiant dosiaľ neboli predložené?

Keďže liek Chenodeoxycholic acid Leadiant bol povolený za mimoriadnych okolností, spoločnosť, ktorá tento liek uvádza na trh, vytvorí register na monitorovanie prínosov a bezpečnosti lieku.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Chenodeoxycholic acid Leadiant boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Ďalšie informácie o lieku Chenodeoxycholic acid Leadiant

Dňa 10. apríla 2017 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Chenodeoxycholic acid sigma-tau na trh platné v celej Európskej únii. Názov lieku bol 12. mája 2017 zmenený na Chenodeoxycholic acid Leadiant.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Chenodeoxycholic acid Leadiant sa nachádza na webovej stránke agentúry EMA: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Chenodeoxycholic acid Leadiant, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Chenodeoxycholic acid Leadiant sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 06-2017