



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Chenodeoxycholic acid Lediant¹

kenodeoxicholsyra

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Chenodeoxycholic acid Lediant. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Chenodeoxycholic acid Lediant ska användas.

Praktisk information om hur Chenodeoxycholic acid Lediant ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Chenodeoxycholic acid Lediant och vad används det för?

Chenodeoxycholic acid Lediant är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen kenodeoxicholsyra. Detta är en "primär gallsyra", som är en huvudbeståndsdel i gallan (en vätska som bildas i levern och som hjälper till att bryta ner fett i maten).

Chenodeoxycholic acid Lediant används för att behandla vuxna och barn från en månads ålder med cerebrotendinös xantomatos. Dessa patienter kan inte producera en tillräcklig mängd av den primära gallsyran kenodeoxicholsyra på grund av genetiska avvikelser som leder till en brist på leverenzymet sterol-27-hydroxylas. När primära gallsyror saknas producerar kroppen i stället onormala gallsyror och andra substanser, som ansamlas i hela kroppen och orsakar skada.

Eftersom antalet patienter med detta tillstånd är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Chenodeoxycholic acid Lediant klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 16 december 2014.

¹ Kallades tidigare Chenodeoxycholic acid sigma-tau.



Chenodeoxycholic acid Leadiant är ett "hybridläkemedel". Det betyder att det liknar ett referensläkemedel som innehåller samma aktiva substans. Referensläkemedlet är Xenbilox. Xenbilox skiljer sig emellertid från Chenodeoxycholic acid Leadiant genom att det är godkänt för en annan användning (för att lösa upp kolesterolgallstenar).

Hur används Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Chenodeoxycholic acid Leadiant är receptbelagt och behandlingen ska inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla cerebrotendinös xantomatos eller andra sjukdomar som rör produktion av primära gallsyror.

Chenodeoxycholic acid Leadiant finns som kapslar (250 mg) som tas tre gånger om dagen vid ungefär samma tid varje dag. Den dagliga dosen beror på patientens ålder, leverfunktion och mängd gallsyra i blod och urin, och den väljs och justeras för varje patient under behandlingen. För små barn och barn som inte kan svälja kapslar, kan innehållet i kapslarna blandas med natriumbikarbonatlösning (8,4 procent) till en vätska.

Mer information finns i bipacksedeln.

Hur verkar Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Kenodeoxicholsyra är en av de viktigaste primära gallsyrorna som produceras i levern. Kenodeoxicholsyran i detta läkemedel ersätter den kenodeoxicholsyra som patienten saknar. Detta bidrar till att minska produktionen av onormala ämnen och att normalisera gallans aktivitet i matsmältningssystemet, vilket lindrar sjukdomssymtomen.

Vilken nytta med Chenodeoxycholic acid Leadiant har visats i studierna?

Chenodeoxycholic acid Leadiant har undersökts i en studie där man granskade journalerna för 35 patienter med cerebrotendinös xantomatos som fått kenodeoxicholsyra i omkring 9 år. Hos 23 patienter för vilka det fanns data om blodnivåer av gallsyror hade samtliga reducerade nivåer (medelreduktion på 56–69 µmol/l). Av 14 patienter för vilka det fanns data om urinnivåer av gallsyror hade 79 procent (11 av 14) reducerade nivåer i sitt senaste test. Merparten av patienterna uppvisade dessutom förbättrade symtom på sjukdomen: alla rapporterade en förbättring när det gäller diarré, 89 procent av patienterna visade en förbättring i sin mentala förmåga, 60 procent av patienterna visade förbättrad rörlighet, och 85 procent respektive 77 procent av patienterna visade psykiatrisk förbättring baserat på två olika poängskalor.

Vilka är riskerna med Chenodeoxycholic acid Leadiant?

De biverkningar som orsakas av Chenodeoxycholic acid Leadiant är förstoppning och avvikande levervärden i tester, men frekvensen av dem kunde inte bestämmas med säkerhet från de tillgängliga begränsade uppgifterna. Biverkningarna var lindriga eller måttliga i svårighetsgrad och varade inte länge.

En fullständig förteckning över restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför godkänns Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Kenodeoxicholsyra har använts för att behandla cerebrotendinös xantomatos i omkring 40 år, även om det inte funnits godkännande för denna användning. På grund av att sjukdomen är sällsynt är uppgifterna om användningen av läkemedlet ännu begränsade. Studier har ändå visat att läkemedlet

är till nytta för patienter och inte har några betydande biverkningar. Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann därför att nyttan med Chenodeoxycholic acid Leadiant är större än riskerna och rekommenderade att det skulle godkännas för försäljning i EU.

Chenodeoxycholic acid Leadiant har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Chenodeoxycholic acid Leadiant eftersom sjukdomen är sällsynt. Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om läkemedlet varje år och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Chenodeoxycholic acid Leadiant saknas för närvarande?

Eftersom Chenodeoxycholic acid Leadiant har godkänts i enlighet med reglerna om "godkännande i undantagsfall", ska företaget som marknadsför detta läkemedel skapa ett register för att övervaka läkemedlets nytta och säkerhet.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Chenodeoxycholic acid Leadiant har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Mer information om Chenodeoxycholic acid Leadiant

Den 10 april 2017 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning för Chenodeoxycholic acid sigma-tau som gäller i hela EU. Den 12 maj 2017 ändrades läkemedlets namn till Chenodeoxycholic acid Leadiant.

EPAR för Chenodeoxycholic acid Leadiant finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Chenodeoxycholic acid Leadiant finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Chenodeoxycholic acid Leadiant från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 06-2017.