



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100674/2016  
EMA/H/C/002081

## Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

---

### Kolbam

acidum cholicum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Kolbam. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Kolbam používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Kolbam, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

### Co je Kolbam a k čemu se používá?

Kolbam je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku kyselinu cholovou. Jedná se o „primární žlučovou kyselinu“, což je jedna z hlavních složek žluči (tekutiny vytvářené játry, která napomáhá trávení tuků).

Přípravek Kolbam je schválen k celoživotní léčbě dospělých a dětí ve věku od jednoho měsíce, kteří nejsou schopni vytvářet dostatek primárních žlučových kyselin, např. kyseliny cholové, v důsledku genetických abnormalit, jež vedou k nedostatku těchto jaterních enzymů: sterol 27-hydroxyláza; 2-methylacyl-CoA racemáza nebo cholesterol 7 $\alpha$ -hydroxyláza.

Pokud tyto primární žlučové kyseliny chybějí, vytváří tělo místo nich abnormální žlučové kyseliny, které mohou způsobit poškození jater, vedoucí případně i k život ohrožujícímu selhání jater. Onemocnění je známé jako „vrozené poruchy syntézy primárních žlučových kyselin“.

Jelikož počet pacientů s vrozenými poruchami syntézy primárních žlučových kyselin je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Kolbam byl dne 28. října 2009 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

---

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



## Jak se přípravek Kolbam používá?

Výdej přípravku Kolbam je vázán na lékařský předpis, přičemž léčba by měla být zahájena a sledována lékařem specializovaným na onemocnění, k jejichž léčbě se přípravek Kolbam používá.

Přípravek je dostupný ve formě tobolek (50 a 250 mg). Denní dávka je u každého pacienta volena a během léčby upravována v závislosti na hladinách žlučových kyselin v krvi a moči a na funkci jater. Maximální denní dávka by neměla překročit 15 mg na kilogram tělesné hmotnosti.

Přípravek Kolbam by se měl užívat každý den přibližně ve stejnou dobu spolu s jídlem. U malých dětí, které nejsou schopny tobolky polknout, je možné obsah tobolky smísit s dětskou výživou, odstříkaným mateřským mlékem, bramborovou kaší nebo ovocným pyré.

Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

## Jak přípravek Kolbam působí?

Kyselina cholová je jednou z hlavních primárních žlučových kyselin, které se tvoří v játrech. Kyselina cholová obsažená v přípravku Kolbam nahrazuje u pacienta chybějící kyselinu cholovou. To pomáhá snižovat tvorbu abnormálních žlučových kyselin a přispívá k normální činnosti žluči v trávicí soustavě, a tím ke zmírnění příznaků onemocnění.

## Jaké přínosy přípravku Kolbam byly prokázány v průběhu studií?

Přípravek Kolbam byl zkoumán v jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 52 pacientů s vrozenými poruchami syntézy primárních žlučových kyselin, včetně 7 pacientů, u kterých chyběla buď sterol 27-hydroxyláza, 2-methylacyl-CoA racemáza, nebo cholesterol 7 $\alpha$ -hydroxyláza. Hlavním měřítkem účinnosti byly změny hladin žlučových kyselin a funkce jater před léčbou přípravkem Kolbam a po ní. Na základě výsledků této studie byla stanovena účinnost přípravku Kolbam pro schválené indikace. Odpovídala klinickým očekáváním i údajům z literatury.

## Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Kolbam?

Nežádoucí účinky přípravku Kolbam jsou obecně mírné až středně závažné a mají přechodný charakter. Nejčastějšími nežádoucími účinky (které mohou postihnout až 1 osobu z 10) jsou periferní neuropatie (poškození nervů v rukou a chodidlech), průjem, nauzea (pocit nevolnosti), kyselý reflux (stoupání žaludeční šťávy do úst), ezofagitida (zánět jícnu), žloutenka (zežloutnutí kůže a očí), kožní problémy (léze) a malátnost.

Přípravek Kolbam se nesmí užívat v kombinaci s fenobarbitalem (přípravkem k léčbě epilepsie).

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení je uveden v příbalové informaci.

## Na základě čeho byl přípravek Kolbam schválen?

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury rozhodl, že přínosy přípravku Kolbam převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby byl schválen k použití v EU. Výbor CHMP dospěl k závěru, že přípravek Kolbam má příznivé účinky u pacientů s nedostatkem těchto jaterních enzymů: sterol 27-hydroxyláza, 2-methylacyl-CoA racemáza a cholesterol 7 $\alpha$ -hydroxyláza. Z hlediska bezpečnosti přípravku se mělo za to, že nežádoucí účinky nejsou závažné a že jsou reverzibilní (vymizí).

Přípravek Kolbam byl registrován „za výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění nebylo možné o přípravku Kolbam získat úplné informace. Evropská agentura pro léčivé

přípravky každoročně vyhodnotí veškeré nové informace a tento souhrn bude podle potřeby aktualizován.

## **Jaké informace o přípravku Kolbam nebyly dosud předloženy?**

Jelikož přípravek Kolbam byl schválen za výjimečných okolností, společnost, která přípravek Kolbam dodává na trh, bude sledovat jeho přínosy a bezpečnost pomocí registru pacientů a předloží každoroční aktualizace.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Kolbam?**

K zajištění co nejbezpečnějšího používání přípravku Kolbam byl vypracován plán řízení rizik. Na základě tohoto plánu byly do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace přípravku Kolbam zahrnuty informace o bezpečnosti, včetně příslušných opatření, která by měli dodržovat zdravotničtí pracovníci i pacienti.

Společnost, která přípravek Kolbam dodává na trh, navíc poskytne vzdělávací materiály s informacemi o správném a bezpečném používání přípravku Kolbam všem lékařům, u nichž se očekává, že budou tento léčivý přípravek předepisovat.

Další informace jsou uvedeny ve [shrnutí plánu řízení rizik](#).

## **Další informace o přípravku Kolbam**

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Kolbam platné v celé Evropské unii dne 20. listopadu 2015.

Plné znění zprávy EPAR a shrnutí plánu řízení rizik pro přípravek Kolbam je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports). Další informace o léčbě přípravkem Kolbam naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Kolbam vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation).

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 02-2016.