



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100677/2016  
EMA/H/C/002081

## Περίληψη EPAR για το κοινό

### Kolbam χολικό οξύ

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Kolbam. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του φαρμάκου. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Kolbam.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Kolbam, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευούνται το φύλλο οδηγιών χρήσης που συνοδεύει το φάρμακο ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

### **Τι είναι το Kolbam και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;**

Το Kolbam είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία χολικό οξύ. Πρόκειται για ένα «πρωτογενές χολικό οξύ», το οποίο αποτελεί βασικό συστατικό της χολής (υγρό που παράγεται από το ήπαρ και συμβάλλει στην πέψη των λιπών).

Το Kolbam έχει λάβει έγκριση για τη διά βίου θεραπεία ενηλίκων και παιδιών από την ηλικία του ενός μηνός που δεν μπορούν να παράγουν επαρκείς ποσότητες πρωτογενών χολικών οξέων, όπως το χολικό οξύ, λόγω ορισμένων γενετικών ανωμαλιών οι οποίες οδηγούν σε έλλειψη των ακόλουθων ηπατικών ενζύμων: 27-υδροξυλάση στερολών, 2-μεθυλακυλοσουλένζυμο Α ρακεμάση ή 7α-υδροξυλάση της χοληστερόλης.

Σε περίπτωση έλλειψης των συγκεκριμένων πρωτογενών χολικών οξέων, ο οργανισμός παράγει μη φυσιολογικά χολικά οξέα, τα οποία μπορούν να προκαλέσουν βλάβη στο ήπαρ και πιθανώς απειλητική για τη ζωή ηπατική ανεπάρκεια. Η πάθηση είναι γνωστή ως «ενδογενείς διαταραχές της σύνθεσης πρωτογενών χολικών οξέων».

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με ενδογενείς διαταραχές της σύνθεσης πρωτογενών χολικών οξέων και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Kolbam χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 28 Οκτωβρίου 2009.

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



## Πώς χρησιμοποιείται το Kolbam;

Το Kolbam χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η έναρξη και παρακολούθηση της θεραπείας πρέπει να γίνεται από γιατρό εξειδικευμένο στη θεραπεία των ασθενειών για την αντιμετώπιση των οποίων χρησιμοποιείται το Kolbam.

Το Kolbam διατίθεται υπό μορφή καψακίων (50 και 250 mg). Η ημερήσια δόση επιλέγεται και προσαρμόζεται για κάθε ασθενή ξεχωριστά κατά τη διάρκεια της θεραπείας, ανάλογα με τα επίπεδα χολικών οξέων στο αίμα και στα ούρα του ασθενή, και την ηπατική λειτουργία του. Η μέγιστη ημερήσια δόση δεν πρέπει να υπερβαίνει τα 15 mg ανά κιλό σωματικού βάρους.

Το Kolbam πρέπει να λαμβάνεται περίπου την ίδια ώρα κάθε ημέρα, μαζί με γεύμα. Όσον αφορά τα μικρά παιδιά που δεν μπορούν να καταπιούν τα καψάκια, το περιεχόμενο των καψακίων μπορεί να αναμειγνύεται με βρεφικό γάλα σε σκόνη, αντλημένο μητρικό γάλα, πουρέ πατάτας ή αλεσμένα φρούτα.

Για περισσότερες πληροφορίες, ανατρέξτε στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

## Πώς δρα το Kolbam;

Το χολικό οξύ είναι ένα από τα κύρια πρωτογενή χολικά οξέα που παράγονται από το ήπαρ. Το χολικό οξύ που περιέχει το Kolbam αναπληρώνει την έλλειψη χολικού οξέος του ασθενή, γεγονός που συμβάλλει στη μείωση της παραγωγής μη φυσιολογικών χολικών οξέων καθώς και στην αποκατάσταση της φυσιολογικής δραστηριότητας της χολής στο πεπτικό σύστημα, παρέχοντας κατ' επέκταση ανακούφιση από τα συμπτώματα της πάθησης.

## Ποια είναι τα οφέλη του Kolbam σύμφωνα με τις μελέτες;

Διενεργήθηκε μια κύρια μελέτη για το Kolbam στην οποία μετείχαν 52 ασθενείς με ενδογενείς διαταραχές της σύνθεσης πρωτογενών χολικών οξέων, περιλαμβανομένων 7 ασθενών με έλλειψη 27-υδροξυλάσης στερολών, 2-μεθυλακυλοσυνενζύμου A ρακεμικής ή 7 $\alpha$ -υδροξυλάσης της χοληστερόλης. Οι βασικοί δείκτες μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν οι αλλαγές στα επίπεδα των χολικών οξέων και στην ηπατική λειτουργία πριν και μετά τη θεραπεία με Kolbam. Η αποτελεσματικότητα του Kolbam για τις εγκεκριμένες ενδείξεις καταδείχθηκε με βάση τα αποτελέσματα της εν λόγω μελέτης. Τα αποτελέσματα αυτά συνάδουν με τις κλινικές προσδοκίες και τα βιβλιογραφικά δεδομένα.

## Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Kolbam;

Οι ανεπιθύμητες ενέργειες του Kolbam είναι γενικά ήπιες έως μέτριας σοβαρότητας και παροδικές. Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες (ενδέχεται να εμφανιστούν σε έως και 1 στα 10 άτομα) είναι περιφερική νευροπάθεια (νευρολογικές βλάβες στα χέρια και στα πόδια), διάρροια, ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), παλινδρόμηση οξέος (τα οξέα του στομάχου επιστρέφουν προς το στόμα), οισοφαγίτιδα (φλεγμονή του οισοφάγου), ίκτερος (κιτρινωπό χρώμα στο δέρμα και τους οφθαλμούς), δερματικά προβλήματα (βλάβες) και κακουχία (αδιαθεσία και εξάντληση).

Το Kolbam δεν πρέπει να χορηγείται σε συνδυασμό με φαινοβαρβιτάλη (φάρμακο για την επιληψία).

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

## Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Kolbam;

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Οργανισμού έκρινε ότι τα οφέλη του Kolbam υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω

φαρμάκου στην ΕΕ. Η CHMP συμπέρανε ότι το Kolbam έχει ωφέλιμες επιδράσεις σε ασθενείς με ελλείψεις των ακόλουθων ηπατικών ενζύμων: 27-υδροξυλάση στερολών, 2-μεθυλακυλοσυνένζυμο Α ρακεμάση και 7α-υδροξυλάση της χοληστερόλης. Σε ό,τι αφορά την ασφάλεια, οι ανεπιθύμητες ενέργειες φαίνεται ότι είναι μη σοβαρές και αναστρέψιμες.

Το Kolbam εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», διότι, λόγω της σπανιότητας της ασθένειας, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Kolbam. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα περίληψη θα ενημερώνεται αναλόγως.

### **Ποια στοιχεία για το Kolbam αναμένεται να υποβληθούν;**

Δεδομένου ότι το Kolbam εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», η παρασκευάστρια εταιρεία του Kolbam θα παρακολουθεί τα δεδομένα από το μητρώο ασθενών σχετικά με τα οφέλη και την ασφάλεια του Kolbam και θα παρέχει τα επικαιροποιημένα στοιχεία σε ετήσια βάση.

### **Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Kolbam;**

Καταρτίστηκε σχέδιο διαχείρισης κινδύνου προκειμένου να διασφαλιστεί ότι το Kolbam χρησιμοποιείται με τον ασφαλέστερο δυνατό τρόπο. Βάσει του σχεδίου αυτού, στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του Kolbam συμπεριλήφθηκαν πληροφορίες σχετικά με την ασφάλεια καθώς και με τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και από τους ασθενείς.

Επιπλέον, η παρασκευάστρια εταιρεία του Kolbam θα παράσχει σε όλους τους γιατρούς που αναμένεται να συνταγογραφήσουν το Kolbam εκπαιδευτικό υλικό με πληροφορίες σχετικά με την ορθή και ασφαλή χρήση του φαρμάκου.

Περισσότερες πληροφορίες περιλαμβάνονται στην [περίληψη του σχεδίου διαχείρισης κινδύνου](#)

### **Λοιπές πληροφορίες για το Kolbam**

Στις 20 Νοεμβρίου 2015, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Kolbam.

Η πλήρης EPAR και η περίληψη του σχεδίου διαχείρισης κινδύνου του Kolbam διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports). Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Kolbam, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Kolbam διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation).

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 02-2016.