



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/572393/2013
EMA/H/C/001250

Kokkuvõte üldsusele

Orphacol

koolhape

See on ravimi Orphacol Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloa andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta Orphacoli kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate Orphacoli kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Mis on Orphacol ja milleks seda kasutatakse?

Orphacol on ravim, mis sisaldab toimeainena koolhapet. Koolhape on aine, mida leidub sapis ja mis aitab seedida rasvu.

Orphacoli kasutatakse täiskasvanute ja vähemalt 1 kuu vanuste laste raviks, kellel on geneetiline defekt, mille tõttu nad ei ole võimelised sappi tootma. Orphacoli kasutatakse patsientidel, kellel on kahe spetsiifilise maksaensüümi (3β -hüdroksü- Δ^5 -C₂₇-steroidi oksidoreduktaasi või Δ^4 -3-oksüsteroid- 5β -reduktaasi) vaegus. Seetõttu ei ole selliste patsientide maks võimeline tootma piisavas koguses sapi peamisi komponente, nn primaarseid sapphappeid, sealhulgas koolhapet. Kui primaarseid sapphappeid ei ole piisavas koguses, toodab maks nende asemel ebanormaalseid sapphappeid, mis võivad kahjustada maksa ja põhjustada eluohtlikku maksapuudulikkust.

Et primaarsete sapphapete sünteesi kaasasündinud häiretega patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Orphacol 18. detsembril 2002 harvikravimiks.

Kuidas Orphacoli kasutatakse?

Orphacol on retseptiravim. Ravi Orphacoliga peab alustama maksahaiguste ravile spetsialiseerunud arst ja see peab toimuma tema järelevalve all.

Orphacoli turustatakse kapslitena ja seda võetakse iga päev koos toiduga enam-vähem samal ajal. Ööpäevane annus on vahemikus 5–15 mg kehakaalu kg kohta ja seda kohandatakse iga patsiendi



jaoks olenevalt tema sapphapete profiilist. Minimaalne ööpäevane annus on 50 mg ja maksimaalne ööpäevane annus 500 mg. Väikestel lastel, kes ei ole võimelised kapsleid neelama, võib segada kapsli sisu imikutoidu või mahla sisse. Kui maksafunktsioon ei parane 3-kuulise ravi jooksul, tuleb ravi katkestada.

Kuidas Orphacol toimib?

Koolhape on peamine maksas toodetav primaarne sapphape. Orphacolis sisalduv koolhape asendab puuduvat koolhapet. See aitab vähendada ebanormaalsete sapphapete tootmist ja aitab taastada sapi normaalset funktsiooni seedesüsteemis, vähendades sel teel haigussümptomeid.

Milles seisneb uuringute põhjal Orphacoli kasulikkus?

Et koolhape on tuntud toimeaine ja selle kasutamine nimetatud ensüümide vaeguse korral on hästi teada, esitas müügiloa taotleja andmeid teaduskirjandusest. Müügiloa taotleja esitas teaduskirjanduse andmed 49 patsiendi kohta, kellel oli sapphapete sünteesi kaasasündinud häire (38 patsienti 3β -hüdroksü- Δ^5 - C_{27} -steroidi oksidoreduktaasi vaegusega ja 11 patsienti Δ^4 -3-oksüsteroid- 5β -reduktaasi vaegusega). Nendes kirjandusandmetes võrreldi koolhappega ravitud 28 patsiendi ravitulemusi teiste patsientide ravitulemustega, keda raviti muude sapphapetega või kes ei saanud sapphapperavi.

Teaduskirjanduses on näidatud, et ravi koolhappega vähendab patsientidel ebanormaalsete sapphapete kogust, taastab normaalse maksafunktsiooni ja aitab edasi lükata või ära hoida maksasiirdamise vajadust.

Mis riskid Orphacoliga kaasnevad?

Orphacoli kasutamisel täheldatud kõrvalnähud on kõhulahtisus, kihelus, transaminaaside (maksaensüümide) sisalduse suurenemine ja tõenäoliselt ka sapikivid, ehkki nende esinemissagedust ei saanud olemasolevate piiratud andmete alusel hinnata.

Orphacoli ei tohi kasutada isikud, kes on koolhappe või ravimi mõne muu koostisaine suhtes ülitundlikud (allergilised). Seda ei tohi samuti kasutada patsiendid, kes saavad ravi fenobarbitaaliga, mida kasutatakse epilepsia raviks.

Miks Orphacol heaks kiideti?

Inimravimite komitee märkis, et koolhappe kasutamine primaarsete sapphapete sünteesi kaasasündinud häirete raviks on meditsiinipraktikas hästi teada ja teaduskirjanduses dokumenteeritud, ehkki dokumenteeritud ravijuhtude arv on haiguse harva esinemise tõttu väike. Seetõttu otsustas inimravimite komitee teaduskirjanduses avaldatud tõendusmaterjalide alusel, et Orphacoli kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas anda ravimi müügiloa.

Orphacoli müügiluba anti erandkorras, sest kuna haigus esineb harva, ei olnud võimalik saada Orphacoli kohta täielikku teavet. Euroopa Raviamet vaatab kogu uue teabe igal aastal läbi ja vajaduse korral uuendab käesolevat kokkuvõtet.

Mis teavet Orphacoli kohta veel oodatakse?

Et Orphacol kiideti heaks erandkorras, loob Orphacoli turustav ettevõtte Orphacoliga ravitavate patsientide andmebaasi, et jälgida ravi ohutust ja efektiivsust, ning esitab need andmed kokkulepitud ajavahemike tagant inimravimite komiteele.

Mis meetmeid võetakse, et tagada Orphacoli ohutu ja efektiivne kasutamine?

Töötati välja riskijuhtimisstrateegia, et tagada Orphacoli võimalikult ohutu kasutamine. Strateegiast lähtudes lisati ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele Orphacoli ohutusteave, kus on ka tervishoiuspetsialistide ja patsientide võetavad meetmed.

Orphacoli turustav ettevõtte varustab kõigis liikmesriikides Orphacoli välja kirjutavad arstid teabepakmega, mis sisaldab õppematerjale ja teavet kõnealuste haigusseisundite õige diagnoosimise ja ravi, samuti kõrvaltoimete riski ja ravimi õige kasutamise kohta.

Muu teave Orphacoli kohta

Euroopa Komisjon andis Orphacoli müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 12. septembril 2013.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Orphacoli kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Kui vajate Orphacoliga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Orphacoli kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 09-2013.