



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

---

# Orphacol

## kólsav

Ez az Orphacol-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak az Orphacol alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben az Orphacol alkalmazásával kapcsolatos gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon orvosához vagy gyógyszerészéhez!

## Milyen típusú gyógyszer az Orphacol és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Orphacol kólsavat tartalmazó gyógyszer. A kólsav az epében található, a zsírok emésztéséhez szükséges.

A gyógyszer azoknak a felnőtteknek és egy hónapnál idősebb gyerekeknek a kezelésére alkalmazható, akiknek a szervezete genetikai rendellenesség miatt nem képes epét termelni. Az Orphacol azoknak a betegeknek a kezelésére alkalmazható, akiknél nincs jelen elegendő mennyiségben két jellegzetes májenzim (a  $3\beta$ -hidroxi- $\Delta^5$ -C<sub>27</sub>-szteroid-oxidoreduktáz vagy a  $\Delta^4$ -3-oxoszteroid-5 $\beta$ -reduktáz). Emiatt a betegek mája nem képes elegendő mennyiségben előállítani az epe legfontosabb összetevőit, az ún. elsődleges epesavakat, például a kólsavat. Ezeknek az elsődleges epesavaknak a hiányában a szervezet rendellenes epesavakat termel, amelyek károsíthatják a májat, és ez életveszélyes májelégtelenséghez vezethet.

Mivel az elsődleges epesavtermelés veleszületett zavarában szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért az Orphacol 2002. december 18. dátummal megkapta a „ritka betegség gyógyszere” minősítést.



## Hogyan kell alkalmazni az Orphacol-t?

A gyógyszer csak receptre kapható, és az Orphacol-kezelés májbetegségekre szakosodott orvos felügyeletével indítható el és folytatható.

Az Orphacol kapszulában kapható és étellel kell bevenni, minden nap, nagyjából azonos időpontban. A napi adag 5 és 15 mg között változik testtömeg kilogrammonként. A beteg epesav-termelési képességétől függően kell beállítani a napi adagot, amely legalább 50 mg kell, hogy legyen, de legfeljebb 500 mg lehet. A kapszulát lenyelni nem képes gyerekeknél a kapszula tartalma tápszerbe vagy gyümölcslebe keverhető. A kezelést le kell állítani, ha a májműködés három hónap után sem javul.

## Hogyan fejt ki hatását az Orphacol?

A kólsav a máj által termelt legfontosabb elsődleges epesav. Az Orphacol-ban található kólsav pótolja a beteg hiányzó kólsav-mennyiségét. Segít csökkenteni a rendellenes epesav termelő mennyiségét, és hozzájárul az emésztőrendszerben lévő epe normális működéséhez, így enyhítve a betegség tüneteit.

## Milyen előnyei voltak az Orphacol alkalmazásának a vizsgálatok során?

Mivel a kólsav jól ismert vegyület, és az enzimhiányos állapotokban való alkalmazása megalapozott és elfogadott, a kérelmező a szakirodalomban szereplő adatokat mutatta be. A kérelmező szakirodalomból vett adatok alapján az elsődleges epesavtermelés veleszületett zavarában szenvedő 49 beteg adatait ismertette (38 betegnél a  $3\beta$ -hidroxi- $\Delta^5$ -C<sub>27</sub>-szteroid oxidoreduktáz, 11 betegnél a  $\Delta^4$ -3-oxoszteroid-5 $\beta$ -reduktáz hiányzott). Összehasonlították a kezelés eredményét annál a 28 betegnél, akik kólsavat kaptak, azok eredményével, akiket más epesavakkal vagy nem epesavakkal kezeltek.

A szakirodalomban szereplő adatok szerint a kólsav-kezelés csökkenti a betegeknél a termelt rendellenes epesav mennyiségét, visszaállítja a normális májműködést, és késlelteti vagy kiküszöböli a májátültetés szükségességét.

## Milyen kockázatokkal jár az Orphacol alkalmazása?

Az Orphacol mellékhatásai a következők voltak: hasmenés, pruritus (viszketés), a transzaminázok (májenzimek) szintjének megemelkedése és valószínűleg epekövesség, bár az előfordulási gyakoriságot a rendelkezésre álló korlátozott adatokból nem lehetett megbízhatóan megállapítani.

Az Orphacol nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiásak) a kólsavval vagy a készítmény bármely más összetevőjével szemben. A gyógyszert nem szedhetik azok a betegek, akik az epilepszia kezelésére alkalmazott fenobarbitált kapják.

## Miért engedélyezték az Orphacol forgalomba hozatalát?

A CHMP figyelembe vette, hogy a kólsav alkalmazása az elsődleges epesavtermelés veleszületett zavarának kezelésére az orvosi gyakorlatban megalapozott és a szakirodalomban is elfogadott módszer, ugyanakkor a betegség ritka előfordulása miatt a dokumentált esetek száma alacsony. A Bizottság úgy döntött, hogy a szakirodalomban szereplő bizonyítékok alapján az Orphacol előnyei meghaladják a kockázatokat, és javasolta a gyógyszer forgalomba hozatalának engedélyezését.

Az Orphacol-t forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a betegség ritka jellege miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni az Orphacol-ról. Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az összefoglalót.

## **Milyen információk várhatók még az Orphacol-lal kapcsolatban?**

Mivel az Orphacol forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték, az Orphacol-t forgalmazó vállalat a kezelés biztonságosságának és hatásosságának követésére összeállítja a gyógyszerrel kezelt betegek adatbázisát, és a kezelési eredményeket megszabott időközönként rendszeresen továbbítja a CHMP részére.

## **Milyen intézkedéseket hoztak az Orphacol biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

Az Orphacol lehető legbiztonságosabb alkalmazásának céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján az Orphacol alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban feltüntették a biztonsági információkat, többek között az egészségügyi szakemberek és a betegek által betartandó, megfelelő óvintézkedéseket.

Az Orphacol-t gyártó vállalat az Orphacol-kezelést végző orvosoknak rendelkezésére bocsátja mindegyik tagállamban azt a csomagot, amely a termékkel kapcsolatos szakirodalmat, a gyógyszerrel kezelhető betegségek pontos diagnózisának megállapítására vonatkozó tudnivalókat, a mellékhatások kockázatait és a gyógyszer megfelelő alkalmazásának leírását tartalmazza.

## **Az Orphacollal kapcsolatos egyéb információ:**

2013. szeptember 12-én az Európai Bizottság az Orphacol-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

Az Orphacol-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Amennyiben az Orphacollal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon orvosához vagy gyógyszerészéhez!

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Orphacol-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 09-2013.