



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Riassunto destinato al pubblico

Orphacol

acido colico

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Orphacol. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Orphacol.

Per informazioni pratiche sull'uso di Orphacol i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Orphacol?

Orphacol è un medicinale contenente acido colico, una sostanza presente nella bile che è utilizzata per digerire i grassi.

Orphacol è indicato per il trattamento di adulti e bambini a partire da un mese di età che non sono in grado di produrre la bile a causa di un'anomalia genetica. È usato in pazienti che non possiedono un sufficiente quantitativo di due enzimi epatici specifici (3 β -idrossi- Δ^5 -C₂₇-steroidi ossidoriduttasi o 3-oxo- Δ^4 -steroidi-5 β -riduttasi). Questo deficit compromette la capacità del fegato di produrre un quantitativo sufficiente dei principali componenti della bile, i cosiddetti acidi biliari primari, come l'acido colico. Quando c'è un'insufficienza di tali acidi biliari primari, l'organismo produce acidi biliari anomali che possono danneggiare il fegato, generando una grave insufficienza epatica.

Poiché il numero di pazienti affetti da errori congeniti della sintesi degli acidi biliari primari è basso, la malattia è considerata "rara" e Orphacol è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 18 dicembre 2002.

Come si usa Orphacol?

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e il trattamento con Orphacol deve essere iniziato e monitorato da un medico specializzato in malattie epatiche.

Orphacol è disponibile sotto forma di capsule e deve essere assunto ogni giorno, approssimativamente alla stessa ora, durante un pasto. La dose giornaliera è compresa tra 5 e 15 mg per kg di peso corporeo, adeguata per ciascun paziente in base allo stato dell'acido biliare, a partire da una dose

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 Facsimile +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu Website www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



minima giornaliera di 50 mg fino a una dose massima di 500 mg. Nei bambini che non riescono a ingoiare le capsule, il loro contenuto può essere aggiunto al latte del biberon o a un succo di frutta. Il trattamento va interrotto se la funzione epatica non migliora nell'arco di tre mesi.

Come agisce Orphacol?

L'acido colico è il principale acido biliare primario prodotto dal fegato. L'acido colico contenuto in Orphacol sostituisce l'acido colico che dovrebbe essere prodotto dall'organismo del paziente. In questo modo contribuisce a ridurre la produzione di acidi biliari anomali e favorisce la normale attività della bile nel sistema digestivo, alleviando i sintomi della condizione.

Quali benefici di Orphacol sono stati evidenziati negli studi?

Poiché l'acido colico è una sostanza nota e il suo uso in questi deficit enzimatici è consolidato, il richiedente ha presentato dati provenienti dalla letteratura scientifica. Il richiedente ha presentato dati tratti dalla letteratura scientifica, raccolti su 49 pazienti con errori congeniti della sintesi degli acidi biliari primari (38 pazienti con deficit di 3β -idrossi- Δ^5 -C₂₇-steroidi ossidoriduttasi e 11 pazienti con deficit di 3-oxo- Δ^4 -steroidi-5 β -riduttasi). Ha quindi confrontato gli effetti su 28 soggetti trattati con acido colico rispetto agli effetti su pazienti trattati con acidi biliari diversi o non sottoposti ad alcuna terapia sostitutiva.

Dalla letteratura scientifica è emerso che il trattamento con acido colico riduce il quantitativo di acidi biliari anomali nei pazienti, ripristina le normali funzioni del fegato e contribuisce a ritardare o prevenire la necessità di un trapianto di fegato.

Quali sono i rischi associati a Orphacol?

Gli effetti indesiderati osservati con Orphacol sono diarrea, prurito, aumento delle transaminasi (enzimi epatici) e talvolta calcoli biliari, sebbene la loro frequenza non possa essere stimata in maniera affidabile sulla base dei limitati dati disponibili.

Orphacol non deve essere somministrato a persone che possono essere ipersensibili (allergiche) all'acido colico o a uno qualsiasi degli altri ingredienti. Non deve essere somministrato a pazienti che stanno assumendo fenobarbitale, un medicinale usato per curare l'epilessia.

Perché Orphacol è approvato?

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha osservato che l'uso di acido colico nel trattamento degli errori congeniti della sintesi degli acidi biliari primari è consolidato nella pratica medica e ben documentato nella letteratura scientifica, sebbene il numero di casi documentati sia basso a causa della rarità della condizione. Ha quindi deciso che i benefici di Orphacol sono superiori ai rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Orphacol è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete su Orphacol a causa della rarità della malattia. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni disponibili e questo riassunto sarà aggiornato di conseguenza.

Quali informazioni sono ancora attese per Orphacol?

Poiché Orphacol è stato autorizzato in circostanze eccezionali, la ditta che commercializza Orphacol creerà una banca dati di pazienti trattati con Orphacol per monitorare la sicurezza e l'efficacia del trattamento e presenterà i risultati al CHMP a intervalli regolari e specifici.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Orphacol?

È stato elaborato un piano di gestione del rischio per garantire che Orphacol sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di Orphacol sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

La ditta che produce Orphacol fornirà anche ai medici di tutti gli Stati membri che intendono prescrivere Orphacol un fascicolo contenente la letteratura sul prodotto e informazioni relative alla corretta diagnosi di tali condizioni, ai rischi di effetti collaterali e all'uso corretto del medicinale.

Altre informazioni su Orphacol

Il 12 settembre 2013 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Orphacol, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Orphacol consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Orphacol, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Orphacol è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 09-2013.