



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Orphacol

cholio rūgštis

Šis dokumentas yra Orphacol Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatyti jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Orphacol.

Praktinės informacijos apie Orphacol vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

Kas yra Orphacol ir kam jis vartojamas?

Orphacol – tai vaistas, kurio sudėtyje yra cholio rūgšties, tulžyje esančios medžiagos, kuri skaido riebalus.

Juo gydomi suaugusieji ir vaikai nuo vieno mėnesio, kuriems diagnozuota genetinė anomalija, dėl kurios jų organizme negaminama tulžis. Orphacol skiriamas pacientams, kurių organizme yra nepakankamai dviejų kepenų fermentų (3β-hidroksi-Δ⁵-C₂₇-steroid oksidoreduktazės arba Δ⁴-3-Oksosteroid-5β-reduktazės). Dėl to jų kepenys negali pagaminti pakankamo pagrindinių tulžies sudedamųjų dalių, vadinamųjų pirminių tulžies rūgščių, kaip antai cholio rūgšties, kiekio. Esant šių pirminių tulžies rūgščių trūkumui, organizme gaminamos anomalios tulžies rūgštys, kurios gali pažeisti kepenis, dėl to pacientui gali išsivystyti grėsmė gyvybei keliantis kepenų nepakankamumas.

Kadangi įgimtų pirminių tulžies rūgščių sintezės sutrikimų turinčių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta, ir 2002 m. gruodžio 18 d. Orphacol buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Kaip vartoti Orphacol?

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą Orphacol turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas kepenų ligų srities specialistas.



Orphacol tiekiamas kapsulėmis ir vartojamas valgio metu, kasdien, maždaug tuo pačiu metu. Paros dozė svyruoja nuo 5 iki 15 mg/kg kūno svorio ir ji koreguojama kiekvienam pacientui atskirai, atsižvelgiant į jo organizme gaminamos tulžies rūgšties būklę, tačiau paros dozė negali būti mažesnė nei 50 mg ir didesnė kaip 500 mg. Mažiems vaikams, kurie negali nuryti kapsulių, jų turinį galima įmaišyti į kūdikių pieno mišinį arba sultis. Jeigu per tris mėnesius kepenų funkcija nepagerėja, gydymą reikia nutraukti.

Kaip veikia Orphacol?

Cholio rūgštis yra pagrindinė kepenyse gaminama pirminė tulžies rūgštis. Orphacol sudėtyje esančia cholio rūgštimi pakeičiama paciento organizme trūkstama cholio rūgštis. Tai padeda sumažinti anomalių tulžies rūgščių gamybą ir padeda tulžiai normaliai veikti virškinimo sistemoje, todėl ligos sukelti simptomai palengvėja.

Kokia Orphacol nauda nustatyta tyrimuose?

Kadangi cholio rūgštis yra gerai žinoma medžiaga ir ji plačiai naudojama gydant šių fermentų trūkumus, pareiškėjas pateikė duomenis iš mokslinės literatūros. Remdamasis moksline literatūra, pareiškėjas pateikė duomenis apie 49 pacientus, kuriems buvo diagnozuoti įgimti pirminių tulžies rūgščių sintezės sutrikimai (38 pacientus, kuriems nustatytas 3β -hidroksi- Δ^5 -C₂₇-steroid oksidoreduktazės trūkumas, ir 11 pacientų, kuriems nustatytas Δ^4 -3-Oksosteroid-5 β -reduktazės trūkumas). Buvo lyginami 28 pacientų, kurie buvo gydomi cholio rūgštimi, ir kitų pacientų, kuriems buvo paskirtos kitos tulžies rūgštys arba kuriems nebuvo taikomas gydymas tulžies rūgštimis, gydymo rezultatai.

Iš mokslinės literatūros matyti, kad taikant gydymą cholio rūgštimi, anomalių tulžies rūgščių kiekis sumažėjo, kepenų funkcija normalizavosi ir pavyko išvengti kepenų persodinimo arba jį atitolinti.

Kokia rizika siejama su Orphacol vartojimu?

Orphacol sukelti šalutiniai reiškiniai buvo viduriavimas, pruritas (niežulys), padidėjęs transaminazių (kepenų fermentų) kiekis ir galimi tulžies akmenys, nors pagal turimus negausius duomenis, patikimai apskaičiuoti jų dažnio nepavyko.

Orphacol negalima vartoti esant padidėjusiam jautrumui (alergijai) cholio rūgščiai arba bet kuriai pagalbinei medžiagai. Jo negalima vartoti pacientams, kurie jau vartoja fenobarbitalį – vaistą nuo epilepsijos.

Kodėl Orphacol patvirtintas?

Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) atkreipė dėmesį, kad cholio rūgštis plačiai naudojama medicininėje praktikoje gydant įgimtus pirminių tulžies rūgščių sintezės sutrikimus ir kad toks vartojimo būdas aprašomas mokslinėje literatūroje, nors dėl ligos retumo užregistruotų atvejų skaičius buvo nedidelis. Komitetas nusprendė, kad remiantis mokslinėje literatūroje pateiktais įrodymais, Orphacol nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo suteikti jo rinkodaros leidimą.

Orphacol rinkodaros leidimas suteiktas išimtinėmis sąlygomis. Tai reiškia, kad dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie Orphacol. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją, jeigu jos bus, ir prireikus atnaujins šią PCS.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Orphacol?

Kadangi Orphacol buvo patvirtintas išimtinėmis sąlygomis, šiuo vaistu prekiaujanti bendrovė sukurs Orphacol gydomų pacientų duomenų bazę, kad galėtų stebėti gydymo šiuo vaistu saugumą ir veiksmingumą, ir nuolat, tam tikrais intervalais pateiks rezultatus CHMP.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Orphacol vartojimą?

Siekiant užtikrinti kuo saugesnį Orphacol vartojimą, parengtas rizikos valdymo planas. Remiantis šiuo planu, į Orphacol preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtraukta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant atsargumo priemones, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Be to, Orphacol gaminanti bendrovė visų valstybių narių gydytojus, kurie vaistu Orphacol gydys savo pacientus, aprūpins informaciniu rinkiniu, kuriame bus pateikti preparato informaciniai dokumentai bei informacija, susijusi su teisingu šių ligų diagnozavimu, šalutinio poveikio rizika ir tinkamu šio vaisto vartojimo būdu.

Kita informacija apie Orphacol

Europos Komisija 2013 m. rugsėjo 12 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Orphacol rinkodaros leidimą.

Išsamų Orphacol EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Daugiau informacijos apie gydymą Orphacol rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Orphacol santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2013-09.