



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Orphacol

aċidu koliku

Dan huwa sommarju tar-Rapport Pubbliku Ewropew ta' Valutazzjoni (EPAR) għal Orphacol. Dan jispjega kif l-Aġenzija vvalutat il-medicina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni fl-UE u l-kondizzjonijiet ta' użu. Dan mhux intiż biex jipprovdi konsultazzjoni Prattika fuq l-użu ta' Orphacol.

Għal informazzjoni Prattika fuq l-użu ta' Orphacol, il-pazjenti għandhom jaqraw il-fuljett ta' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew spiżjar tagħhom.

X'inhu Orphacol u għal xiex jintuża?

Orphacol huwa medicina li fiha l-aċidu koliku, sustanza li tinstab fil-bila li tintuża għad-diġestjoni tax-xaħmijiet.

Huwa jintuża għall-kura ta' adulti u tfal mill-età ta' xahar 'il fuq li jkollhom anormalità ġenetika li tagħmilhom mhux kapaċi jipproduċu l-bila. Orphacol jintuża f'pazjenti li ma jkollhomx biżżejjed minn żewġ enzimi speċifiċi tal-fwied (3β -Hydroxy- Δ^5 -C₂₇-steroid oxidoreductase jew Δ^4 -3-Oxosteroid-5 β -reductase). Dan jagħmel il-fwied tagħhom mhux kapaċi jipproduċi biżżejjed mill-komponenti prinċipali tal-bila, imsejha aċidi biljari primarji, bħall-aċidu koliku. Meta dawn l-aċidi biljari primarji jkunu neqsin, il-ġisem jipproduċi, minflok, aċidi biljari anormali li jistgħu jagħmlu ħsara lill-fwied, li tista' potenzjalment twassal għal insuffiċjenza tal-fwied li tkun ta' periklu għall-ħajja.

Peress li n-numru ta' pazjenti b'difetti preżenti fit-twelid fis-sintesi tal-aċidu biljari primarju huwa baxx, il-marda hija kkunsidrata 'rari', u Orphacol ġie kklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina li tintuża f'mard rari) fit-18 ta' Diċembru 2002.

Kif jintuża Orphacol?

Il-medicina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u l-kura b'Orphacol għandha tinbeda u tiġi sorveljata minn tabib speċjalizzat fil-mard tal-fwied.



Orphacol jiġi bħala kapsuli u għandu jittiehed kuljum bejn wiehed u ieħor fl-istess ħin, ma' ikla. Id-doża ta' kuljum hija bejn 5 u 15 mg għal kull kg tal-piż tal-ġisem, aġġustata għal kull pazjent skont l-istat tal-aċidu biljari tagħhom, b'doża minima kuljum ta' 50 mg u massima ta' 500 mg. Għal tfal żgħar li ma jkunux jistgħu jibilgħu l-kapsuli, il-kontenut jista' jiġi mħallat ma' formula għat-trabi jew mal-meraġ. Il-kura għandha titwaqqaf jekk il-funzjoni tal-fwied ma titjiebx fi żmien tliet xhur.

Kif jaħdem Orphacol?

L-aċidu koliku huwa l-aċidu biljari primarju ewlieni prodott mill-fwied. L-aċidu koliku kontenut f'Orphacol jissostitwixxi l-aċidu koliku nieqes tal-pazjent. Dan jgħin sabiex titnaqqas il-produzzjoni ta' aċidi biljari anormali u jikkontribwixxi għall-attività normali tal-bila fis-sistema diġestiva, u b'hekk itaffi s-sintomi tal-kondizzjoni.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Orphacol li ħarġu mill-istudji?

Peress li l-aċidu koliku huwa sustanza magħrufa sewwa, u l-użu tiegħu f'dawn id-defiċjenzi tal-enzimi huwa stabbilit sewwa, l-applikant ipprezenta dejta mil-letteratura xjentifika. L-applikant ipprezenta dejta dwar 49 pazjent b'difetti preżenti fit-twelid fis-sintesi tal-aċidu biljari prinċipali, meħuda mil-letteratura xjentifika (38 pazjent b'defiċjenza ta' 3β -Hydroxy- Δ^5 -C₂₇-steroid oxidoreductase u 11-il pazjent b'defiċjenza ta' Δ^4 -3-Oxosteroid-5 β -reductase). Din qabblat ir-riżultati ta' 28 pazjent li rċevew l-aċidu koliku ma' oħrajn li ngħataw aċidi biljari differenti jew li ma rċevewx kura bl-aċidi biljari.

Fil-letteratura xjentifika, il-kura bl-aċidu koliku ntweriet li tnaqqas l-ammont ta' aċidi biljari anormali fil-pazjenti, biex iġġib lura l-funzjonijiet normali tal-fwied u biex tgħin sabiex tittardja jew tevita l-ħtieġa ta' trapjant tal-fwied.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Orphacol?

L-effetti sekondarji li deħru b'Orphacol kienu dijarrea, prurite (ħakk), żidiet fit-transaminases (enzimi tal-fwied) u possibbilment ġebel fil-marrara, għalkemm il-frekwenza tagħhom ma setgħetx tiġi stabbilita b'mod affidabbli mid-dejta limitata disponibbli.

Orphacol m'għandux jintuża f'persuni li jistgħu jkunu ipersensittivi (allergjiċi) għall-aċidu koliku jew għal xi waħda mis-sustanzi l-oħra. M'għandux jittiehed minn pazjenti li diġà jkunu qegħdin jiehdu phenobarbital, mediċina użata għall-kura tal-epilessija.

Għal xiex giet approvat Orphacol?

Il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) innota li l-użu tal-aċidu koliku għall-kura ta' difetti preżenti fit-twelid fis-sintesi tal-aċidu biljari prinċipali kien stabbilit sewwa fil-prattika medika u dokumentat fil-letteratura xjentifika, għalkemm in-numru tal-każijiet dokumentati kien baxx minħabba r-rarità tal-kundizzjoni. Fuq il-bażi tal-evidenza mil-letteratura xjentifika huwa ddeċieda li l-benefiċċji ta' Orphacol jisbqu r-riskji tiegħu u rrakkomanda li jingħata l-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq.

Orphacol ġie awtorizzat taħt 'ċirkustanzi ta' eċċezzjoni'. Dan minħabba li ma kienx possibbli li tinkiseb informazzjoni kompluta fuq Orphacol minħabba r-rarità tal-marda. Kull sena, l-Aġenzija Ewropea tal-Mediċini se tirrevedi kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli u dan is-sommarju jiġi aġġornat kif meħtieġ.

Liema informazzjoni għadha mistennija għal Orphacol?

Minhabba li Orphacol għie approvat taħt ċirkostanzi ta' eċċezzjoni, il-kumpanija li tikkumerċjalizza Orphacol se tistabilixxi database tal-pazjenti kkurati b'Orphacol biex timmonitorja s-sigurtà u l-effikaċja tal-kura, u se tissottometti r-riżultati lis-CHMP f'intervalli regolari, speċifikati.

X'miżuri qegħdin jittehdu biex jassiguraw użu sigur u effettiv ta' Orphacol??

Pjan ta' ġestjoni tar-riskju għie żviluppat biex jassigura li Orphacol jintuża bl-aktar mod sigur possibbli. Abbażi ta' dan il-pjan, fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u l-fuljett ta' tagħrif għiet inkluża informazzjoni rigward is-sigurtà ta' Orphacol, fosthom il-prekawzjonijiet xierqa li jridu jkunu segwiti mill-professjonisti tal-kura tas-saħħa u l-pazjenti.

Il-kumpanija li tagħmel Orphacol se tipprovdi wkoll lit-tobba fl-Istati Membri kollha li se jużaw Orphacol, pakkett li jinkludi letteratura dwar il-prodott u informazzjoni dwar id-dijanjożi korretta ta' dawn il-kondizzjonijiet tal-marda, ir-riskji tal-effetti sekondarji u kif jużaw il-medicina b'mod korrett.

Informazzjoni oħra dwar Orphacol

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha għal Orphacol fit-12 ta' Settembru 2013.

L-EPAR sħiħ għal Orphacol jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Orphacol, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew l-ispiżjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Medicinali Orfni għal Orphacol jista' jinstab fuq is-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Is-sommarju għie aġġornat l-aħħar fi'09-2013.