



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Orphacol

kyselina cholová

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Orphacol. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho užívania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Orphacol.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Orphacol, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je liek Orphacol a na čo sa používa?

Orphacol je liek obsahujúci kyselinu cholovú, látku, ktorá sa nachádza v žlči potrebnej na trávenie tukov.

Liek sa používa na liečbu dospelých a detí od jedného mesiaca veku, ktorí majú genetickú abnormalitu, v dôsledku ktorej nie sú schopní vytvárať žlč. Liek Orphacol sa používa u pacientov, ktorí nemajú dostatočné množstvo dvoch konkrétnych pečňových enzýmov (3 β -hydroxy- Δ^5 -C₂₇-steroid-oxidoreduktázy alebo Δ^4 -3-oxosteroid-5 β -reduktázy), v dôsledku čoho ich pečeň nie je schopná vytvárať dostatočné množstvo hlavných zložiek žlče, ktoré sa nazývajú žlčové kyseliny, ako je napríklad kyselina cholová. Keď chýbajú tieto primárne žlčové kyseliny, telo namiesto nich vytvára abnormálne žlčové kyseliny, ktoré môžu poškodiť pečeň, čo môže viesť k život ohrozujúcemu zlyhaniu pečene.

Keďže je počet pacientov s vrodenou poruchou syntézy primárnych žlčových kyselín nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Orphacol dňa 18. decembra 2002 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Ako sa liek Orphacol užíva?

Liek je len na lekárske predpis. Liečbu liekom Orphacol má začať lekár, ktorý je špecializovaný na ochorenia pečene, a na túto liečbu má tiež dohliadať.



Liek Orphacol je dostupný vo forme kapsúl a má sa užívať každý deň približne v rovnakom čase spolu s jedlom. Denná dávka je 5 až 15 mg na kg telesnej hmotnosti, upravená pre každého pacienta podľa stavu žlčovej kyseliny, pričom minimálna denná dávka je 50 mg a maximálna denná dávka je 500 mg. V prípade malých detí, ktoré nevedia prehltnúť kapsuly, obsah kapsúl sa môže zmiešať s detskou výživou alebo džúsom. Ak sa funkcia pečene nezlepší do troch mesiacov, liečba sa má zastaviť.

Akým spôsobom liek Orphacol účinkuje?

Kyselina cholová je hlavná primárna žlčová kyselina, ktorá sa vytvára v pečeni. Kyselina cholová v lieku Orphacol nahrádza u pacienta chýbajúcu kyselinu cholovú. To pomáha znížiť tvorbu abnormálnych žlčových kyselín a prispieva k normálnemu pôsobeniu žlče v tráviacom systéme, čo zmiernuje príznaky tohto stavu.

Aké prínosy lieku Orphacol boli preukázané v štúdiách?

Keďže kyselina cholová je dobre známa látka a jej použitie pri deficiencii týchto enzýmov je dobre zavedené, žiadateľ predložil údaje z odbornej literatúry. Žiadateľ predložil údaje od 49 pacientov s vrodenu poruchou syntézy primárnych žlčových kyselín z odbornej literatúry (38 pacientov s deficienciou 3β -hydroxy- Δ^5 -C₂₇-steroid-oxidoreduktázy a 11 pacientov s deficienciou Δ^4 -3-oxosteroid-5 β -reduktázy). Porovnal výsledky 28 pacientov, ktorí dostávali kyselinu cholovú, s výsledkami iných pacientov, ktorí dostávali iné žlčové kyseliny alebo nedostávali liečbu žlčovými kyselinami.

Na základe odbornej literatúry je preukázané, že liečba kyselinou cholovou znižuje u pacientov množstvo abnormálnych žlčových kyselín, obnovuje normálnu funkciu pečene a pomáha oddialiť potrebu transplantácie pečene alebo tejto potrebe zabráňuje.

Aké riziká sa spájajú s užívaním lieku Orphacol?

K vedľajším účinkom pozorovaným pri užívaní lieku Orphacol patrila hnačka, pruritus (svrbenie), zvýšená hladina transamináz (pečeňových enzýmov) a možno tiež žlčníkové kamene, aj keď ich frekvencia sa nemohla spoľahlivo odhadnúť na základe obmedzených dostupných údajov.

Liek Orphacol sa nemá používať u osôb, ktoré môžu byť precitlivené (alergické) na kyselinu cholovú alebo na iné zložky lieku. Liek nesmú užívať pacienti, ktorí už užívajú liek fenobarbital, ktorý sa používa na liečbu epilepsie.

Prečo bol liek Orphacol povolený?

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) poznamenal, že použitie kyseliny cholovej na liečbu vrodenej poruchy syntézy primárnych žlčových kyselín je v lekárskej praxi dobre zavedené a dokumentované v odbornej literatúre, aj keď počet dokumentovaných prípadov je nízky vzhľadom na zriedkavosť tohto stavu. Výbor rozhodol, že na základe dôkazov z odbornej literatúry sú prínosy lieku Orphacol väčšie ako jeho riziká a odporučil vydať pre liek povolenie na uvedenie na trh.

Liek Orphacol bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Orphacol. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Orphacol dosiaľ neboli predložené?

Kedže liek Orphacol bol povolený za mimoriadnych okolností, spoločnosť, ktorá liek Orphacol uvádza na trh, vytvorí databázu pacientov liečených liekom Orphacol na sledovanie bezpečnosti a účinnosti liečby, a výboru CHMP bude pravidelne predkladať výsledky v určených intervaloch.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Orphacol?

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania lieku Orphacol bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté informácie o bezpečnosti lieku Orphacol vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Spoločnosť vyrábajúca liek Orphacol poskytne tiež lekárom vo všetkých členských štátoch, ktorí budú liek Orphacol používať, balík obsahujúci literatúru o lieku a informácie týkajúce sa správneho stanovenia diagnózy pri tomto ochorení, rizík vedľajších účinkov a správneho používania lieku.

Ďalšie informácie o lieku Orphacol

Dňa 12. septembra 2013 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Orphacol na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Orphacol sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Orphacol, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Orphacol sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 09-2013