



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Orphacol

holna kislina

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Orphacol. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Orphacol naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Orphacol in za kaj se uporablja?

Orphacol je zdravilo, ki vsebuje holno kislino, tj. snov, ki jo najdemo v žolču in se uporablja za presnavljanje maščob.

Uporablja se za zdravljenje odraslih in otrok, starejših od enega meseca, z genetsko okvaro, zaradi katere niso zmožni tvoriti žolča. Zdravilo Orphacol se uporablja pri bolnikih s pomanjkanjem dveh specifičnih jetrnih encimov (3β -hidroksi- Δ^5 - C_{27} -steroid-oksidoreduktaze ali Δ^4 -3-oksosteroid-5 β -reduktaze). Zaradi tega pomanjkanja jetra niso zmožna tvoriti dovolj glavnih sestavin žolča, imenovanih primarne žolčne kisline, kot je holna kislina. Pri pomanjkanju teh primarnih žolčnih kislin telo tvori nenormalne žolčne kisline, ki lahko poškodujejo jetra in povzročijo tudi smrtno nevarno odpoved jeter.

Ker je bolnikov z dednimi napakami v sintezi primarnih žolčnih kislin malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Orphacol 18. decembra 2002 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Kako se zdravilo Orphacol uporablja?

Izdaja zdravila je le na recept. Zdravljenje z zdravilom Orphacol mora uvesti in nadzirati zdravnik, specializiran za jetrne bolezni.

Zdravilo Orphacol je na voljo v obliki kapsul in ga je treba jemati vsak dan z obrokom ob približno istem času. Dnevni odmerek je med 5 in 15 mg na kg telesne mase, ki se pri posameznem bolniku



prilagodi glede na stanje žolčne kisline, pri čemer je najmanjši dnevni odmerek 50 mg, največji pa 500 mg. Pri majhnih otrocih, ki ne morejo požirati kapsul, se lahko vsebina zmeša z začetno formulo za dojenčke ali sokom. Če se delovanje jeter ne izboljša v treh mesecih, je treba zdravljenje prekiniti.

Kako zdravilo Orphacol deluje?

Holna kislina je glavna primarna žolčna kislina, ki jo tvorijo jetra. Holna kislina v zdravilu Orphacol nadomesti manjkajočo holno kislino pri bolniku. To pomaga zmanjšati tvorbo nenormalnih žolčnih kislin in prispeva k normalnemu delovanju žolča v prebavilih ter s tem lajša simptome te bolezni.

Kakšne koristi je zdravilo Orphacol izkazalo v študijah?

Ker je holna kislina dobro znana snov in je njena uporaba pri pomanjkanju tega encima dobro uveljavljena, je predlagatelj predstavil podatke iz znanstvene literature. Predstavil je tudi podatke 49 bolnikov z dednimi napakami v sintezi primarnih žolčnih kislin iz znanstvene literature (38 bolnikov s pomanjkanjem 3β -hidroksi- Δ^5 -C₂₇-steroid-oksidoreduktaze in 11 bolnikov s pomanjkanjem Δ^4 -3-oksosteroid-5 β -reduktaze). Izide 28 bolnikov, ki so prejeli holno kislino, je primerjal z drugimi bolniki, ki so prejeli druge žolčne kisline ali niso prejeli zdravljenja z žolčno kislino.

V znanstveni literaturi so pokazali, da zdravljenje s holno kislino zmanjša količino nenormalnih žolčnih kislin pri bolnikih, kar vzpostavi normalno delovanje jeter in pomaga odložiti ali preprečiti potrebo po presaditvi jeter.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Orphacol?

Neželeni učinki, ki so jih opazili pri uporabi zdravila Orphacol, so bili driska, pruritus (srbenje), povišane ravni transaminaz (jetrnih encimov) in morebitni žolčni kamni, čeprav njihove pogostnosti ni bilo mogoče zanesljivo oceniti na podlagi razpoložljivih omejenih podatkov.

Zdravila Orphacol ne smejo uporabljati osebe, ki so preobčutljive za (alergične na) holno kislino ali katero koli drugo sestavino zdravila. Ne sme se uporabljati pri bolnikih, ki že jemljejo fenobarbital, zdravilo za zdravljenje epilepsije.

Zakaj je bilo zdravilo Orphacol odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je upošteval, da je uporaba holne kisline za zdravljenje dednih napak v sintezi primarnih žolčnih kislin dobro uveljavljena v zdravstveni praksi in dokumentirana v znanstveni literaturi, čeprav je število dokumentiranih primerov majhno zaradi redkosti bolezni. Na podlagi dokazov iz znanstvene literature je zaključil, da so koristi zdravila Orphacol večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj odobri dovoljenje za promet.

Zdravilo Orphacol je pridobilo dovoljenje za promet v „izjemnih okoliščinah“. Do tega je prišlo zato, ker zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti popolnih informacij o njem. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto pregledala vse razpoložljive nove podatke in ustrezno posodobila ta povzetek.

Katere informacije o zdravilu Orphacol še pričakujemo?

Ker je zdravilo Orphacol pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, bo družba, ki ga trži, vzpostavila podatkovno zbirko bolnikov, ki se zdravijo z njim, s katero se bosta spremljali varnost ter učinkovitost zdravljenja, rezultate pa bo predložila odboru CHMP v rednih, vnaprej določenih obdobjih.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Orphacol?

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila Orphacol je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu s tem načrtom so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo za zdravilo Orphacol vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

Družba, ki izdeluje zdravilo Orphacol, bo zdravnikom v vseh državah članicah, ki uporabljajo zdravilo Orphacol, prav tako priskrbelo literaturo o zdravilu in informacije o pravilnem diagnosticiranju teh bolezni, tveganjih za neželene učinke ter pravilni uporabi zdravila.

Druge informacije o zdravilu Orphacol

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Orphacol, veljavno po vsej Evropski uniji, odobrila 12. septembra 2013.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Orphacol je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Orphacol preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Orphacol je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 09-2013.