

I. MELLÉKLET
ALKALMAZÁSI ELŐÍRÁS

▼ Ez a gyógyszer fokozott felügyelet alatt áll, mely lehetővé teszi az új gyógyszerbiztonsági információk gyors azonosítását. Az egészségügyi szakembereket arra kérjük, hogy jelentsenek bármilyen feltételezett mellékhatást. A mellékhatások jelentésének módjairól a 4.8 pontban kaphatnak további tájékoztatást.

1. A GYÓGYSZER NEVE

Chenodeoxycholic acid Leadiant 250 mg kemény kapszula

2. MINŐSÉGI ÉS MENNYISÉGI ÖSSZETÉTEL

250 mg kenodezoxikólsav kemény kapszulánként.

A segédanyagok teljes listáját lásd a 6.1 pontban.

3. GYÓGYSZERFORMA

Kemény kapszula

Fehér, préselt port tartalmazó, 21,7 mm hosszú, 0 méretű kapszula, amelynek felső része narancssárga, alsó része sárga színű.

4. KLINIKAI JELLEMZŐK

4.1 Terápiás javallatok

A Chenodeoxycholic acid szterol-27-hidroxiláz hiány (cerebrotendinózis xantomatózis – CTX – formájában jelentkezik) miatti primer epesavszintézis veleszületett rendellenességeinek kezelésére javallott 1 hónapos és 18 éves kor közötti csecsemőknél, gyermekeknél és serdülőknél, valamint felnőtteknél.

4.2 Adagolás és alkalmazás

A kezelést a CTX vagy a primer epesavszintézis veleszületett rendellenességeinek kezelésében tapasztalt orvosnak kell elkezdenie és felügyelnie.

A kezelés megkezdésekor és az adag módosításakor a szérum koleszterolszintjét és/vagy a vizelet epealkoholszintjét az anyagcserekontroll beálltáig 3 havonta, majd évente ellenőrizni kell. A kenodezoxikólsav azon legalacsonyabb adagját kell választani, amely a normális tartományon belüli szintre hatékonyan csökkenti a szérum koleszterolszintjét és/vagy a vizelet epealkoholszintjét. A májfunkciót ugyancsak ellenőrizni kell. A májenzimek egyidejű, rendellenes emelkedése túladagolásra utalhat. A kezdeti időszak után a koleszterolszintet, a vizelet epealkoholszintjét és a májfunkciót legalább évente meg kell határozni, és az adagot ennek megfelelően kell módosítani. További vagy még gyakoribb vizsgálatok elvégzésére lehet szükség a kezelés felügyeletére a gyors növekedés időszakaiban, egyidejűleg fennálló betegség és terhesség esetén (lásd 4.6 pont).

A kenodezoxikólsav monoterápiára adott terápiás válasz tartós elmaradása esetén más kezelési lehetőségeket kell mérlegelni.

Adagolás

Felnőttek

A kezdőadag felnőttek részére napi 750 mg, három részre elosztva, feltéve, hogy ez a mennyiség

elégséges a szérumban a koleszterolszintjének és/vagy a vizelet epealkoholszintjének normalizálására. A napi adag ezután 250 mg-os léptékekben legfeljebb 1000 mg/nap értékre emelhető, ha a szérumban a koleszterolszintje és/vagy a vizelet epealkoholszintje emelkedett marad.

Gyermekek és serdülők (1 hónapos és 18 éves életkor között)

Gyermekek számára a gyógyszer kezdőadagja testsúlykilogrammonként napi 5 mg, három részre elosztva. Ha a számított dózis nem a 250 mg többszöröse, a maximális 15 mg/kg napi adag alatti legközelebbi dózist kell választani, feltéve, hogy az elégséges a szérumban a koleszterolszintjének és/vagy a vizelet epealkoholszintjének normalizálására.

Egy hónaposnál fiatalabb újszülöttek

A gyógyszer biztonságosságát és hatásosságát egy hónaposnál fiatalabb újszülöttek esetében nem igazolták. A gyógyszer biztonságos alkalmazásával kapcsolatban korlátozott mennyiségű adat áll rendelkezésre (lásd 4.8 pont).

Speciális populációk

Idős (65 éves vagy idősebb életkorú) betegek

Nem szükséges módosítani az adagolást.

Vesekárosodás

Vesekárosodásban szenvedő betegekkel kapcsolatban nincsenek rendelkezésre álló adatok. Ugyanakkor ezeket a betegeket szoros megfigyelés alatt kell tartani, és adagjukat egyedileg kell titrálni.

Májkárosodás

Májkárosodásban szenvedő betegekkel kapcsolatban nincsenek rendelkezésre álló adatok. Ugyanakkor ezeket a betegeket szoros megfigyelés alatt kell tartani, és adagjukat egyedileg kell titrálni.

Az alkalmazás módja

A Chenodeoxycholic acid kapszulák bevitelét nem kell az étkezéshez igazítani. A kemény kapszulákat egészben, vízzel kell bevenni minden nap megközelítőleg ugyanabban az időpontban. A kapszula lenyelésére képtelen csecsemők és gyermekek esetében a kapszula óvatosan szétnyitható, és a tartalma 8,4%-os nátrium-bikarbonát-oldathoz adható (lásd 6.6 pont).

4.3 Ellenjavallatok

A készítmény hatóanyagával vagy a 6.1 pontban felsorolt bármely segédanyagával szembeni túlérzékenység.

4.4 Különleges figyelmeztetések és az alkalmazással kapcsolatos óvintézkedések

Felügyelet

A kezdeti időszak után a koleszterolszintet, a vizelet epealkoholszintjét és a májfunkciót legalább évente meg kell határozni, és az adagot ennek megfelelően kell módosítani. További vagy még gyakoribb vizsgálatok elvégzésére lehet szükség a kezelés felügyeletére a gyors növekedés időszakában, egyidejűleg fennálló betegség és terhesség esetén (lásd 4.6 pont).

A Chenodeoxycholic acid és más gyógyszerek kölcsönhatása

Ciklosporinnal, szirolimusszal, fenobarbitállal való egyidejű alkalmazása nem javasolt (további részletekért lásd 4.5 pont).

A kolesztipolt, illetve bizonyos alumínium-hidroxidot és/vagy szmektitet tartalmazó savlekötőket 2 órával a Chenodeoxycholic acid bevétele előtt vagy után szabad bevenni. További részletekért lásd 4.5 pont. A Chenodeoxycholic acid-et egy órával a kolesztiramin bevétele előtt, vagy 4-6 órával annak bevétele után szabad bevenni. További részletekért lásd 4.5 pont.

Orális fogamzásgátlókkal való egyidejű alkalmazása nem javallott (további részletekért lásd 4.5 pont). A fogamzóképes nőknek hatékony fogamzásgátlási módszert kell alkalmazniuk (további részletekért lásd 4.6 pont).

4.5 Gyógyszerkölsönhatások és egyéb interakciók

A CTX-ben szenvedő betegeknél nem végeztek interakciós vizsgálatokat a Chenodeoxycholic acid-del és a vele együttesen alkalmazott gyógyszerekkel.

Kolesztipol és savlekötő gyógyszerek

A Chenodeoxycholic acid-et nem szabad együttesen alkalmazni kolesztipollal vagy alumínium-hidroxidot és/vagy szmektitet (alumínium-oxid) tartalmazó savlekötőkkel, mivel ezek a készítmények megkötik a kenodezoxikólsav hatóanyagot a bélben, ezáltal megakadályozzák annak reabszorpcióját és hatásosságát. Szükség esetén az említett hatóanyagok valamelyikét tartalmazó gyógyszert 2 órával a Chenodeoxycholic acid bevétele előtt vagy után szabad bevenni.

Kolesztiramín

A Chenodeoxycholic acid-et nem szabad együttesen alkalmazni kolesztiraminnal, mivel a kolesztiramín megköti a kenodezoxikólsavat a bélben, ezáltal megakadályozza annak reabszorpcióját és hatásosságát. Ha szükséges a kolesztiramín szedése, a Chenodeoxycholic acid-et egy órával a kolesztiramín bevétele előtt vagy 4-6 órával annak bevétele után szabad bevenni.

Ciklosporin és sziriolimusz

A ciklosporinról kimutatták, hogy a CYP27A1 gátlása és a HMG CoA reduktáz enzim aktivitásának növelése révén csökkenti a kenodezoxikólsav szintézisét. A CYP27A1-re gyakorolt hasonló hatást – nagyobb dózisoknál – a sziriolimusznál is megfigyeltek. A Chenodeoxycholic acid ciklosporinnal és sziriolimuszsal való egyidejű alkalmazása kerülendő. Ha a ciklosporin vagy a sziriolimusz alkalmazása szükséges, a szérum és a vizelet epealkoholszintje szigorú ellenőrzést igényel, és a Chenodeoxycholic acid adagját ennek megfelelően kell módosítani.

Fenobarbitál

A Chenodeoxycholic acid fenobarbitállal való együttes alkalmazása növeli a HMG CoA reduktáz enzim szintjét, ezáltal akadályozza a Chenodeoxycholic acid egyik farmakodinámiás hatását a CTX-ben. Ha a fenobarbitál alkalmazása szükséges, a szérum és a vizelet epealkoholszintje szigorú ellenőrzést igényel, és a Chenodeoxycholic acid adagját ennek megfelelően kell módosítani.

Orális fogamzásgátlók

Az orális fogamzásgátlók alkalmazása csökkenti a kenodezoxikólsav szervezetben jelen lévő mennyiségét (pool size). Az orális fogamzásgátlók súlyosbíthatják a meglévő hiányosságokat, és akadályozhatják a Chenodeoxycholic acid hatásosságát a CTX-ben. A gyógyszer orális fogamzásgátlókkal való együttes alkalmazása nem javallott.

4.6 Termékenység, terhesség és szoptatás

Fogamzóképes nők

A fogamzóképes nőknek hatékony fogamzásgátlási módszert kell alkalmazniuk. A Chenodeoxycholic acid-et szedő betegeknél az orális fogamzásgátlók alkalmazása nem javallott (további részletekért lásd 4.5 pont).

Terhesség

A CTX-ben szenvedő, magas koleszterolszinttel rendelkező betegeknél kedvezőtlen kimenetelt figyeltek meg terhességük alatt. A szakirodalomban a CTX-ben szenvedő anyák esetében két méhen belüli halálozásról számoltak be. A CTX-ben szenvedő anyáknál két terhesség koraszüléssel járt, és méhen belüli növekedési retardációról is beszámoltak a szakirodalomban. A Chenodeoxycholic acid terhes nőknél való alkalmazásával kapcsolatban nem vagy csak korlátozott mértékben áll rendelkezésre adat. Az állatkísérletek reprodukciós toxicitást igazoltak (lásd 5.3 pont).

A kenodezoxikólsav alkalmazása nem javallt terhesség alatt és olyan fogamzóképes korú nők esetében, akik nem alkalmaznak fogamzásgátlást.

Szoptatás

Nem ismert, hogy a kenodezoxikólsav és metabolitjai kiválasztódnak-e a humán anyatejbe.

Az anyatejjel táplált csecsemőre nézve a kockázatot nem lehet kizárni.

A kenodezoxikólsav alkalmazása előtt el kell dönteni, hogy a szoptatást függesztik fel, vagy megszakítják a kezelést / tartózkodnak a kezeléstől-figyelembe véve a szoptatás előnyét a gyermekekre nézve, valamint a terápia előnyét a nőre nézve.

Termékenység

A kenodezoxikólsav a szubsztitúciós kezelés során alkalmazott endogén epesav, amely a kezelési dózisonál várhatóan nincs hatással a termékenységre.

4.7 A készítmény hatásai a gépjárművezetéshez és a gépek kezeléséhez szükséges képességekre

A Chenodeoxycholic acid nem, vagy csak elhanyagolható mértékben befolyásolja a gépjárművezetéshez és a gépek kezeléséhez szükséges képességeket.

4.8 Nemkívánatos hatások, mellékhatások

A biztonságossági profil összefoglalása

A Chenodeoxycholic acid-del kezelt betegeknél (felnőtteknél és gyermekeknél egyaránt) jelentkező mellékhatások általában enyhék vagy közepesen súlyosak; a leggyakrabban megfigyelt mellékhatásokat az alábbi táblázat tartalmazza. Az események átmeneti jellegűek voltak, és nem befolyásolták a kezelést.

A mellékhatások táblázatos felsorolása

A mellékhatásokat szervrendszerek szerint az alábbi gyakorisági kategóriákba sorolták: nagyon gyakori ($\geq 1/10$); gyakori ($\geq 1/100 - < 1/10$); nem gyakori ($\geq 1/1000 - < 1/100$); ritka ($\geq 1/10\ 000 - < 1/1000$), nagyon ritka ($< 1/10\ 000$) és nem ismert (a rendelkezésre álló adatokból nem állapítható meg).

MedDRA szervrendszer	Mellékhatás	Gyakoriság
Emésztőrendszeri rendellenességek	Székrekedés	Nem ismert
Máj- és eperendellenességek	A májműködést károsító mellékhatások	Nem ismert

Egyes kiválasztott mellékhatások leírása

Két, beavatkozással nem járó, Chenodeoxycholic acid-del végzett vizsgálatban, 63 beteg közül 3-nál összesen három mellékhatásról számoltak be (biztonságossági populáció). A három mellékhatás egyike sem bizonyult súlyosnak. Egyik esetben egy felnőttél, másik esetben egy gyereknél jelentkezett enyhe, intermittáló székrekedés. Egy esetben egy kéthetes, CTX-szel diagnosztizált csecsemőnél májműködést károsító mellékhatás fordult elő, amelynek ismertetésére az alábbi fejezetben kerül sor.

Gyermekek és serdülők

Két, beavatkozással nem járó, Chenodeoxycholic acid-del végzett vizsgálatban a 14, CTX-ben szenvedő gyermekkorú beteg mindegyikét Chenodeoxycholic acid-del kezelték: 1 csecsemőt (2 éves életkor alatt), 6 gyermeket (2 és 12 év között) és 7 serdülőt (12 és 18 év között). A gyógyszert minden gyermekkorú beteg napi 15 mg/kg-os kezdőadagban kapta.

A kezelésben részt vevő egyetlen csecsemőnél a kezelés megkezdését követő hat héten belül emelkedett májfunkciós teszteredményeket figyeltek meg. A csecsemő májfunkciója a Chenodeoxycholic acid kezelés időszakos felfüggesztésének hatására normalizálódott. A

kenodezoxikólsav-pótlás újraindítása és kisebb adaggal – 5 mg/kg/nap – való fenntartó kezelés mellett további komplikáció nem lépett fel.

Ebben az esetben a májműködést károsító mellékhatások a csecsemőnél több zavaró tényező – például egyidejű parechovírus-fertőzés, a májfunkciót ismertén befolyásoló gyógyszerek (aciklovir és fenobarbitál) együttes alkalmazása és születéskori hiperbilirubinémia – fellépése mellett fordultak elő.

A májműködést károsító mellékhatásokkal kapcsolatban bemutatott biztonságossági információk gyermekkorú betegekre vonatkoznak. A CTX ritka előfordulása miatt a rendelkezésre álló szakirodalmi adatok nem elégségesek a kenodezoxikólsav gyermekkorú korcsoportokon belüli, valamint a gyermekkorú betegek és a felnőttek korcsoportja közötti biztonságosságbeli különbség feltárására.

Feltételezett mellékhatások bejelentése

A gyógyszer engedélyezését követően lényeges a feltételezett mellékhatások bejelentése, mert ez fontos eszköze annak, hogy a gyógyszer előny/kockázat profilját folyamatosan figyelemmel lehessen kísérni. Az egészségügyi szakembereket kérjük, hogy jelentsék be a feltételezett mellékhatásokat a hatóság részére az [V. mellékletben](#) található elérhetőségek valamelyikén keresztül.

4.9 Túladagolás

A túladagolásból eredő potenciális károsodás kockázata rendkívül alacsonynak tekinthető, mivel nem valószínű, hogy a kenodezoxikólsav felhalmozódását az elimináció és a kiválasztás hatékony endogén mechanizmusa idézi elő.

5. FARMAKOLÓGIAI TULAJDONSÁGOK

5.1 Farmakodinámiás tulajdonságok

Farmakoterápiás csoport: Tápcsatorna és anyagcsere – epeterápia – epesavkészítmények, ATC kód: A05AA01

Hatásmechanizmus

Az exogén kenodezoxikólsav szubsztitúciós terápiaként használatos az endogén kenodezoxikólsav hiánya miatt megszünt visszacsatolós gátlás helyreállításában. A CTX-ben a CYP27A1 gén hibája a mitokondriális szterol-27-hidroxiláz enzim hiányát okozza. Ez a hiány a klasszikus (semleges) és alternatív (savas) útvonalon keresztül gátolja a primer epesavak szintézisét. Ugyanakkor a kólsav egy alternatív mikroszomális útvonalon továbbra is képződik. Ez eredményezi a teljes epesavkészletet, amely rendkívül kevés kenodezoxikólsavat, ezzel szemben viszonylag sok kólsavat tartalmaz.

A CTX-ben a kenodezoxikólsav hiánya a koleszterin-7-alfa-hidroxiláz (CYP7A1) és a HMG CoA-reduktáz enzim visszacsatolásának hiányát eredményezi az atípusos epesavak, epealkoholok és a koleszterol termelődésének növekedését okozva, ami patológiás következményekkel jár. A kenodezoxikólsavas exogén pótlás gátolja a CYP7A1 (az FXR magreceptoron keresztül) és a HMG CoA-reduktáz enzim működését, és így helyreállítja a visszacsatolós gátlást.

A kenodezoxikólsav elsődleges farmakodinámiás hatásai:

1. Csökkent koleszterintermelődés: a szérum koleszterolszintjének csökkenése (a HMG CoA-reduktáz enzimre hat).
2. Csökkent koleszteroltermelődés: a szérum koleszterolszintjének csökkenése (a HMG CoA-reduktáz és a CYP7A1 enzimre hat).
3. Az atípusos epealkoholok és epesavak termelődésének csökkenése: a primer epesavszintézis visszacsatolós gátlásának helyreállításán keresztül (a CYP7A1 enzimre hat).

Klinikai hatásosság és biztonságosság

A hatásosság és biztonságosság vizsgálatára két európai központban végzett két retrospektív vizsgálatban került sor. A pivotális vizsgálatban a betegpopuláció 25,8 éves átlagéletkora alacsonyabb volt a támogató vizsgálat populációjának átlagéletkoránál (35 év), ami egyúttal a két kohorszban a kezelés megkezdése előtt megfigyelhető rokkantsági szintet is tükrözte (a támogató vizsgálat elején nagyobb volt a rokkantsági pontszám).

A CDCA-STUK-15-001 pivotális vizsgálatban a CTX-ben szenvedő betegek kenodezoxikólsavval való kezelése során – a felnőttek napi 750–1000 mg, a csecsemők és a gyerekek napi 5-15 mg/kg kenodezoxikólsavat kaptak – a szérum átlagos koleszterolszintje statisztikailag jelentős csökkenést mutatott a teljes populációban a kiindulási értékhez képest (az egyik alcsoportba az első kezeléskor 21 év alatti, a másikba a 21 éves vagy idősebb betegek tartoztak). A vizelet epealkoholszintje csökkent. A neurológiai rokkantsági pontszámok (Rankin és EDSS) a betegek 84,6%, illetve 76,9%-ánál stabilizálódtak vagy javultak az adatszolgáltatás megszűnése előtti utolsó klinikai vizit idejére. Az átlagos Rankin- és EDSS-pontszám csak nagyon kis mértékben emelkedett (romlott) a vizsgálat kezdetétől az adatszolgáltatás megszűnése előtti utolsó klinikai vizitig (a teljes populációban mért érték $0,08 \pm 0,74$, ill. $0,27 \pm 1,24$), és ez a növekedés statisztikailag nem volt számottevő. A 21 év alattiak alcsoportjában az átlagos Rankin-pontszám – $-0,31 \pm 0,48$ – statisztikailag jelentős ($p = 0,04$) javulást (csökkenést) mutatott.

A betegség jelei és tünetei a legtöbb betegnél megszűntek, javultak vagy stabilizálódtak a vizsgálat során. A hasmenés 100%-ban (a 23 beteg mindegyikénél) megszűnt azoknál a betegeknél, akiknél a vizsgálat elején jelentkezett ez a tünet. A kognitív zavarban szenvedő betegek 88,9%-ánál (18 betegből 16-nál) a tünetek megszűntek, javultak vagy stabilizálódtak. Az epilepszia 100%-ban (a 3 beteg mindegyikénél) megszűnt, míg a polineuropátia 100%-ban (a 11 beteg mindegyikénél) stabilizálódott vagy javult. A piramidális diszfunkció 60%-ban (15 betegből 10-nél), míg a kisagyi diszfunkció 88,7%-ban (14 betegből 12-nél) javult vagy stabilizálódott. A pszichés károsodás tünetei a betegek 85,7%-ánál (7 betegből 6-nál) megszűntek, javultak vagy stabilizálódtak. Ugyanakkor a vizsgálat során mindössze 2 betegnél jelentkező Parkinson-kór (ritkán megnyilvánuló vagy társult betegség) tünetei kapcsán nem volt terápiás válasz.

A CDCA-STRCH-CR-14-001 támogató vizsgálatban a CTX-ben szenvedő betegek kenodezoxikólsavval való kezelése során – a betegek átlagosan 5,75 éven keresztül napi 750 mg kenodezoxikólsavat kaptak – a szérum átlagos koleszterolszintje statisztikailag jelentős csökkenést mutatott a kiindulási értékhez képest a későbbi vizitek alkalmával. A 7α -hidroxi-4-kolesztén-3-on átlagos szintje jelentősen csökkent a kiindulási értékhez képest az 1. és 2. vizit alkalmával. A D-vitamin és a PTH szintje a kiindulási értékhez képest mindkét kezelés utáni vizit alkalmával csökkent, míg az átlagos piruvátszint kiindulási értékhez viszonyított csökkenését az első kezelés utáni vizitnél lehetett megfigyelni. A Rankin- és EDSS-pontszám a betegek 61,5, illetve 50%-ánál stabilizálódott, ugyanakkor a kiindulási értékhez képest a pontszám általános romlását lehetett tapasztalni. A lumbális gerincen a csontozat ásványianyag-tartalmának növekedését (Z-pontszám) figyelték meg mindkét kezelés utáni viziten, és a teljes csípőnél a kezelés utáni 2. viziten. A betegség jelei és tünetei a legtöbb betegnél stabilizálódtak. A hasmenés 64,3%-ban javult vagy megszűnt azoknál a betegeknél, akiknél a vizsgálat elején jelentkezett ez a tünet.

Egy betegnél sem jelentkezett a kezeléssel összefüggő mellékhatás, és a kenodezoxikólsav kielégítő biztonságossági profilt mutatott a rutin laboratóriumi (hematológiai és klinikai kémiai) biztonságossági paraméterekhez képest.

5.2 Farmakokinetikai tulajdonságok

Adatok csak a felnőtt populáció esetében állnak rendelkezésre.

A kenodezoxikólsav egy humán endogén epesav, amelynek epébe történő kiválasztódását exporter pumpákkal, és detoxifikációját szulfatálással szigorúan szabályozzák. A szulfatáláson kívül az epesav glükuronidáció útján is detoxifikálható.

Az orálisan adott kenodezoxikólsav a vékonybélben szívódik fel. A reabszorpció nem teljes. A kenodezoxikólsav kis része kiürül a széklettel.

A bélben történő reabszorpciót követően az epesav majdnem teljesen konjugál a glicin aminosavval és a taurinnal, majd ismételtén kiválasztódik az epén keresztül.

A kenodezoxikólsavat és glicin-, illetve taurin-konjugátumát a bélrendszerben baktériumok bontják le. A dekonjugáció szabad epesavat eredményez, a 7-keto-litokólsav és litokólsav (3 α -hidroxikolánsav) oxidációja a 7-hidroxikólsav eliminációjával megy végbe. Mivel a 7-keto-litokólsav a vastagbélben és a májban részben kenodezoxikólsavvá és urzodezoxikólsavvá (3 α -, 7 β -dihidroxikolánsav) alakítható, a litokólsav csak kismértékben szívódik fel, és ezáltal nagy része a széklettel ürül.

A kenodezoxikólsav biológiai felezési ideje körülbelül 4 nap.

A kenodezoxikólsav reabszorpciója változó (29 – 84%). A kenodezoxikólsavas kezelés után a primer epesavak, a kólsav és a kenodezoxikólsav endogén szintézise gátolt.

5.3 A preklinikai biztonságossági vizsgálatok eredményei

Nem végeztek hivatalos preklinikai biztonságossági vizsgálatokat, ugyanakkor a hagyományos egyszeri és ismételt dózisu toxicitási, genotoxicitási és karcinogénitási vizsgálatokból származó szakirodalmi adatok alapján a készítmény alkalmazásakor humán vonatkozásban különleges kockázat nem várható.

A vizsgált rágcsáló- és főemlős fajok nem rendelkeznek elegendő szulfatáló kapacitással a litokólsav konjugálására, ezért hepatotoxicitás jelentkezett. Ezzel szemben a litokólsav-szulfát humán konjugációja megakadályozza a szemmel látható hepatotoxicitást, ahogy az állatokon végzett ismételt dózisu toxicitási vizsgálatokból is kiderül.

Reprodukciós toxicitás

Patkányokon, hörsögökön és főemlősökön végzett fejlődési toxicitási vizsgálatokban nem észleltek teratogén hatást. A Rhesus majmokon és páviánokon végzett vizsgálatok azt mutatták, hogy a kenodezoxikólsav terhes állatok számára adott dózisa (a Rhesus majmok esetében: 5 – 120 mg/kg/nap; a páviánoknál: 18 – 38 mg/kg/nap) a máj patológiai elváltozását okozta a fejlődő magzatban. A Rhesus majmok magzatainál a mellékvesére és a vesére gyakorolt patológiás hatásokat is észleltek. Csak a Rhesus majmoknál megfigyelt (a páviánoknál nem) maternális hatások közé tartoznak a következők: hasmenés, hányás, testsúlycsökkenés és csökkent étel-miszer-fogyasztás.

6. GYÓGYSZERÉSZETI JELLEMZŐK

6.1 Segédanyagok felsorolása

A kapszula tartalma

Kukoricakeményítő

Magnézium-sztearát

Vízmentes kolloid szilícium-dioxid

Víz

Kapszulahéj

Zselatin

Titán-dioxid

Kinolinsárga

Eritrozin

6.2 Inkompatibilitások

Nem értelmezhető.

6.3 Felhasználhatósági időtartam

3 év.

6.4 Különleges tárolási előírások

A gyógyszerre nem vonatkoznak különleges tárolási előírások.

6.5 Csomagolás típusa és kiszerelése

A kapszulák alumíniumfóliával lezárt polivinil-klorid (PVC) buborékfóliába és kartondobozba vannak csomagolva.

Kiszerelési egység: 100 kapszula

6.6 A megsemmisítésre vonatkozó különleges óvintézkedések és egyéb, a készítmény kezelésével kapcsolatos információk

A kapszula lenyelésére képtelen betegek

A kapszula lenyelésére képtelen *gyermekek, serdülők és felnőttek* esetén és/vagy akiknek 250 mg alatti dózisban kell szedniük a gyógyszert, a kapszula szétnyitható, a tartalma 25 ml (1 mmol/ml koncentrációjú) 8,4%-os nátrium-bikarbonát-oldathoz adható, és így összekeverve egy, a kenodezoxikólsavat 10 mg/ml koncentrációban tartalmazó szuszpenzió keletkezik.

A *csecsemők* esetében a kapszula szétnyitható, a tartalma 50 ml (1 mmol/ml koncentrációjú) 8,4%-os nátrium-bikarbonát-oldathoz adható, és így összekeverve egy, a kenodezoxikólsavat 5 mg/ml koncentrációban tartalmazó szuszpenzió keletkezik.

Magát a hatóanyagot – és nem a kapszula tartalmának összes összetevőjét – oldják fel nátrium-bikarbonát-oldatban, és így egy szuszpenzió keletkezik. Ez a szuszpenzió meglehetősen könnyen képződik, és akkor tekinthető alkalmazásra késznek, ha nem látható benne csomósodás vagy por.

Ajánlatos, hogy ezt a szuszpenziót a gyógyszertárban állítsák elő, és a szülő tájékoztatást kapjon a szuszpenzió alkalmazásának módjáról.

A szuszpenziót üvegben kell tárolni. Hűtőszekrényben nem tárolható, és nem fagyasztható. A szuszpenzió legfeljebb 7 napig marad stabil.

A gyógyszertárnak megfelelő térfogatú és a szuszpenzió alkalmazásához alkalmas osztással ellátott szájfecskendőket kell biztosítani. A megfelelő mennyiséget lehetőség szerint jelölni kell a szájfecskendőn.

A kezelőorvosnak tájékoztatást kell adnia a gyermek súlyának figyelembevételével alkalmazandó dózisiról. A gyerekekre vonatkozó dózistartomány 5–15 mg/kg/nap.

További információért olvassa el a betegtájékoztató „Kizárólag egészségügyi szakembereknek szóló információk” c. részét.

Bármilyen fel nem használt termék, illetve hulladékanyag megsemmisítését a gyógyszerekre vonatkozó hatályos nemzeti előírások szerint kell végrehajtani.

7. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY JOGOSULTJA

Leadiant GmbH
Liebherrstr. 22
80538 München
Németország

Tel.: +49 (0) 89 5506675 – 0
Fax: +49 (0) 89 55 066 75 25
e-mail: info@leadiantbiosciences.com

8. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY SZÁMA(I)

EU/1/16/1110/001

**9. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY ELSŐ KIADÁSÁNAK/
MEGÚJÍTÁSÁNAK DÁTUMA**

A forgalomba hozatali engedély első kiadásának dátuma: 10/04/2017

10. A SZÖVEG ELLENŐRZÉSÉNEK DÁTUMA

A gyógyszerrel kapcsolatban részletes információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján (<http://www.ema.europa.eu>) érhető el.

II. MELLÉKLET

- A. A GYÁRTÁSI TÉTELEK VÉGFELSZABADÍTÁSÁÉRT FELELŐS GYÁRTÓ(K)**
- B. FELTÉTELEK VAGY KORLÁTOZÁSOK AZ ELLÁTÁS ÉS HASZNÁLAT KAPCSÁN**
- C. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY EGYÉB FELTÉTELEI ÉS KÖVETELMÉNYEI**
- D. FELTÉTELEK VAGY KORLÁTOZÁSOK A GYÓGYSZER BIZTONSÁGOS ÉS HATÉKONY ALKALMAZÁSÁRA VONATKOZÓAN**
- E. FORGALOMBA HOZATALT KÖVETŐ INTÉZKEDÉSEK TELJESÍTÉSÉRE VONATKOZÓ SPECIÁLIS KÖTELEZETTSÉG A KIVÉTELES KÖRÜLMÉNYEK KÖZÖTT MEGADOTT FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY ESETÉBEN**

A. A GYÁRTÁSI TÉTELEK VÉGFELSZABADÍTÁSÁÉRT FELELŐS GYÁRTÓ(K)

A gyártási tételek végfelszabadításáért felelős gyártó(k) neve és címe

Pharmaloop S.L.
C/Bolivia, no 15
Polígono Industrial Azque
Alcalá de Henares
Madrid 28806
Spanyolország

B. FELTÉTELEK VAGY KORLÁTOZÁSOK AZ ELLÁTÁS ÉS HASZNÁLAT KAPCSÁN

Korlátozott érvényű orvosi rendelvényhez kötött gyógyszer (lásd I. melléklet: Alkalmazási előírás, 4.2 pont).

C. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY EGYÉB FELTÉTELEI ÉS KÖVETELMÉNYEI

• Időszakos gyógyszerbiztonsági jelentések

Erre a készítményre az időszakos gyógyszerbiztonsági jelentéseket a 2001/83/EK irányelv 107. c) cikkének (7) bekezdésében megállapított és az európai internetes gyógyszerportálon nyilvánosságra hozott uniós referenciaidőpontok listája (EURD lista), illetve annak bármely későbbi frissített változata szerinti követelményeknek megfelelően kell benyújtani.

A forgalomba hozatali engedély jogosultja erre a készítményre az első időszakos gyógyszerbiztonsági jelentést az engedélyezést követő 6 hónapon belül köteles benyújtani.

D. FELTÉTELEK VAGY KORLÁTOZÁSOK A GYÓGYSZER BIZTONSÁGOS ÉS HATÉKONY ALKALMAZÁSÁRA VONATKOZÓAN

• Kockázatkezelési terv

A forgalomba hozatali engedély jogosultja kötelezi magát, hogy a forgalomba hozatali engedély 1.8.2 moduljában leírt, jóváhagyott kockázatkezelési tervben, illetve annak jóváhagyott frissített verzióiban részletezett, kötelező farmakovigilanciái tevékenységeket és beavatkozásokat elvégzi.

A frissített kockázatkezelési terv benyújtandó a következő esetekben:

- ha az Európai Gyógyszerügynökség ezt indítványozza;
- ha a kockázatkezelési rendszerben változás történik, főként azt követően, hogy olyan új információ érkezik, amely az előny/kockázat profil jelentős változásához vezethet, illetve (a biztonságos gyógyszeralkalmazásra vagy kockázatminimalizálásra irányuló) újabb, meghatározó eredmények születnek.

E. FORGALOMBA HOZATALT KÖVETŐ INTÉZKEDÉSEK TELJESÍTÉSÉRE VONATKOZÓ SPECIÁLIS KÖTELEZETTSÉG A KIVÉTELES KÖRÜLMÉNYEK KÖZÖTT MEGADOTT FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY ESETÉBEN

Miután kivételes körülmények között megadott engedélyről van szó, a 726/2004/EK rendelet 14.cikkének (8) bekezdése szerint a forgalomba hozatali engedély jogosultjának a megadott határidőn belül meg kell tennie az alábbi intézkedéseket:

Leírás	Lejárat napja
A Chenodeoxycholic acid-del kezelt betegekre vonatkozó biztonságossági és	Protokoll –

hatásossági adatok hosszú távú gyűjtése érdekében a forgalomba hozatali engedély jogosultjának be kell nyújtania a szterol-27-hidroxiláz hiány miatti primer epesavszintézis veleszületett rendellenességeiben szenvedő betegek – 1 hónapos és 18 éves kor közötti csecsemők, gyermekek és serdülők, valamint felnőttek – nyilvántartásából származó vizsgálat eredményeit.	30/11/2017. Vizsgálati eredmények – PSUR és éves újraértékelések
---	---

III. MELLÉKLET
CÍMKESZÖVEG ÉS BETEGTÁJÉKOZTATÓ

A. CÍMKESZÖVEG

A KÜLSŐ CSOMAGOLÁSON FELTÜNTETENDŐ ADATOK**KÜLSŐ DOBOZ****1. A GYÓGYSZER NEVE**

Chenodeoxycholic acid Lediant 250 mg kemény kapszula
kenodezoxikólsav

2. HATÓANYAG(OK) MEGNEVEZÉSE

250 mg kenodezoxikólsav kapszulánként.

3. SEGÉDANYAGOK FELSOROLÁSA**4. GYÓGYSZERFORMA ÉS TARTALOM**

100 kemény kapszula

5. AZ ALKALMAZÁSSAL KAPCSOLATOS TUDNIVALÓK ÉS AZ ALKALMAZÁS MÓDJA(I)

Használat előtt olvassa el a mellékelt betegtájékoztatót!
Szájon át történő alkalmazásra.

6. KÜLÖN FIGYELMEZTETÉS, MELLYEL SZERINT A GYÓGYSZERT GYERMEKEKTŐL ELZÁRVA KELL TARTANI

A gyógyszer gyermekektől elzárva tartandó!

7. TOVÁBBI FIGYELMEZTETÉS(EK), AMENNYIBEN SZÜKSÉGES**8. LEJÁRATI IDŐ**

EXP:

9. KÜLÖNLEGES TÁROLÁSI ELŐÍRÁSOK**10. KÜLÖNLEGES ÓVINTÉZKEDÉSEK A FEL NEM HASZNÁLT GYÓGYSZEREK VAGY AZ ILYEN TERMÉKEKBŐL KELETKEZETT HULLADÉKANYAGOK ÁRTALMATLANNÁ TÉTELÉRE, HA ILYENREKRE SZÜKSÉG VAN**

11. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY JOGOSULTJÁNAK NEVE ÉS CÍME

Leadiant GmbH
Liebherrstr. 22
80538 München
Németország

12. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY SZÁMA(I)

EU/1/16/1110/001

13. A GYÁRTÁSI TÉTEL SZÁMA

Lot:

14. A GYÓGYSZER RENDELHETŐSÉGE

15. AZ ALKALMAZÁSRA VONATKOZÓ UTASÍTÁSOK

16. BRAILLE ÍRÁSSAL FELTÜNTETETT INFORMÁCIÓK

Chenodeoxycholic acid Leadiant

17. EGYEDI AZONOSÍTÓ – 2D VONALKÓD

Egyedi azonosítójú 2D vonalkóddal ellátva.

18. EGYEDI AZONOSÍTÓ OLVASHATÓ FORMÁTUMA

PC: {szám}
SN: {szám}
NN: {szám}

**A BUBORÉKCSOMAGOLÁSON VAGY A FÓLIACSÍKON MINIMÁLISAN
FELTÜNTETENDŐ ADATOK**

BUBORÉKFÓLIA CSOMAGOLÁS

1. A GYÓGYSZER NEVE

Chenodeoxycholic acid Leadiant 250 mg kemény kapszula
kenodezoxikólsav

2. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY JOGOSULTJÁNAK NEVE

Leadiant GmbH

3. LEJÁRATI IDŐ

EXP:

4. A GYÁRTÁSI TÉTEL SZÁMA

Lot:

5. EGYÉB INFORMÁCIÓK

B. BETEGTÁJÉKOZTATÓ

Betegtájékoztató: Információk a felhasználó számára

Chenodeoxycholic acid Leadiant 250 mg kemény kapszula kenodezoxikólsav

▼ Ez a gyógyszer fokozott felügyelet alatt áll, mely lehetővé teszi az új gyógyszerbiztonsági információk gyors azonosítását. Ehhez Ön is hozzájárulhat a tudomására jutó bármilyen mellékhatás bejelentésével. A mellékhatások jelentésének módjairól a 4. pont végén (Mellékhatások bejelentése) talál további tájékoztatást.

Mielőtt elkezdni szedni ezt a gyógyszert, olvassa el figyelmesen az alábbi betegtájékoztatót, mert az Ön számára fontos információkat tartalmaz.

- Tartsa meg a betegtájékoztatót, mert a benne szereplő információkra a későbbiekben is szüksége lehet.
- További kérdéseivel forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.
- Ezt a gyógyszert az orvos kizárólag Önnek írta fel. Ne adja át a készítményt másnak, mert számára ártalmas lehet még abban az esetben is, ha a betegsége tünetei az Önéhez hasonlóak.
- Ha Önél bármilyen mellékhatás jelentkezik, tájékoztassa kezelőorvosát vagy gyógyszerészét. Ez a betegtájékoztatóban fel nem sorolt bármilyen lehetséges mellékhatásra is vonatkozik. Lásd 4. pont.

A betegtájékoztató tartalma:

1. Milyen típusú gyógyszer a Chenodeoxycholic acid Leadiant, és milyen betegségek esetén alkalmazható?
2. Tudnivalók a Chenodeoxycholic acid Leadiant szedése előtt
3. Hogyan kell szedni a Chenodeoxycholic acid Leadiant et?
4. Lehetséges mellékhatások
5. Hogyan kell a Chenodeoxycholic acid Leadiant tárolni?
6. A csomagolás tartalma és egyéb információk

1. Milyen típusú gyógyszer a Chenodeoxycholic acid Leadiant, és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Chenodeoxycholic acid Leadiant kapszula a kenodezoxikólsav nevű hatóanyagot tartalmazza. Ezt az anyagot a máj természetes módon a koleszterinből állítja elő. A kenodezoxikólsav az epe részét képezi, amely a táplálékban található zsírok és vitaminok emésztését elősegítő folyadék. A ritka betegségként ismert cerebrotendinózis xantomatózisban (CTX) szenvedő betegek nem képesek a kenodezoxikólsav termelésére, így a különböző testrészekben zsírlerakódás következik be. Ez károsíthatja az érintett területeket.

A Chenodeoxycholic acid Leadiant kapszula a kenodezoxikólsav pótlása révén kezeli a CTX-et, és így megakadályozható a zsírlerakódás.

A Chenodeoxycholic acid Leadiant kapszula egy hónapos kortól alkalmazható, és a CTX-ben szenvedő betegek életük hátralévő részében kezelésre szorulnak.

2. Tudnivalók a Chenodeoxycholic acid Leadiant szedése előtt

Ne szedje a Chenodeoxycholic acid Leadiant

- ha allergiás a kenodezoxikólsavra vagy a gyógyszer (6. pontban felsorolt) egyéb összetevőjére

Figyelmeztetések és óvintézkedések

A Chenodeoxycholic acid Leadiant csak orvosi felügyelet mellett alkalmazható. A kezelés alatt kezelőorvosa vér- és vizeletvizsgálatokat fog végezni, hogy lássa, az Ön szervezete hogyan reagál erre a gyógyszerre, és szükség esetén módosítja a gyógyszer adagolását. Kezelőorvosa tájékoztatni fogja Önt, ha a Chenodeoxycholic acid Leadiant val történő kezelést valamilyen okból le kell állítani.

Csecsemők

A Chenodeoxycholic acid Leadiantk biztonságosságát és hatásosságát egy hónaposnál fiatalabb csecsemők esetében nem vizsgálták.

Egyéb gyógyszerek és a Chenodeoxycholic acid Leadiant

Feltétlenül tájékoztassa kezelőorvosát vagy gyógyszerészét a jelenleg vagy nemrégiben szedett, valamint szedni tervezett egyéb gyógyszereiről.

Az alábbi gyógyszerek befolyásolhatják a Chenodeoxycholic acid Leadiant szintjét:

- ciklosporin és szirolimusz (az immunrendszer visszaszorítására alkalmazott gyógyszerek)
- fenobarbitál (az epilepszia kezelésében alkalmazott gyógyszer)

Ha kezelőorvosa szükségesnek ítéli a ciklosporin, a szirolimusz, illetve a fenobarbitál szedését, gondosan figyelemmel fogja kísérni a vér- és vizeletvizsgálatok eredményeit, és szükség esetén beállítja a Chenodeoxycholic acid Leadiant adagját.

Az orális fogamzásgátlók befolyásolhatják a Chenodeoxycholic acid Leadiant hatásmechanizmusát, így csökkentve annak hatásosságát. Orális fogamzásgátlókat nem ajánlatos szedni a Chenodeoxycholic acid Leadiant szedése alatt. Kérje ki kezelőorvosa tanácsát az alkalmas fogamzásgátlási módszereket illetően.

Az alábbi gyógyszerek csökkenthetik a Chenodeoxycholic acid Leadiant hatását:

- kolesztiramin, kolesztipol (ún. epesavmegkötők)
- a gyomorégés kezelésében alkalmazott, alumínium-hidroxidot és/vagy szmektitet (alumínium-oxid) tartalmazó (savlekötő) gyógyszerek

Ha szükséges a kolesztiramin szedése, a Chenodeoxycholic acid Leadiant egy órával a kolesztiramin bevétele előtt vagy 4-6 órával annak bevétele után szabad bevenni.

A listán szereplő egyéb gyógyszereket 2 órával a Chenodeoxycholic acid Leadiant bevétele előtt vagy után vegye be.

Tájékoztassa kezelőorvosát a felsorolt gyógyszerek bármelyikének szedéséről.

Terhesség és szoptatás

Ha Ön terhes vagy szoptat, illetve ha fennáll Önnél a terhesség lehetősége vagy gyermeket szeretne, a gyógyszer alkalmazása előtt beszéljen kezelőorvosával vagy gyógyszerészével.

A Chenodeoxycholic acid Leadiant szedése a terhesség és a szoptatás ideje alatt nem javallott. Nem ismert, hogy a Chenodeoxycholic acid Leadiant kiválasztódik-e a humán anyatejbe.

A nőknek a Chenodeoxycholic acid Leadiant szedése során hatékony fogamzásgátlási módszert kell alkalmazniuk. Orális fogamzásgátlók alkalmazása nem ajánlott. Kérje ki kezelőorvosa tanácsát az alkalmas fogamzásgátlási módszereket illetően.

A készítmény hatásai a gépjárművezetéshez és a gépek kezeléséhez szükséges képességekre

A Chenodeoxycholic acid Leadiant várhatóan nem befolyásolja a gépjárművezetéshez és a gépek kezeléséhez szükséges képességeit.

3. Hogyan kell szedni a Chenodeoxycholic acid Leadiant et?

A gyógyszert mindig a kezelőorvosa vagy gyógyszerésze által elmondottaknak megfelelően szedje. Amennyiben nem biztos az adagolást illetően, kérdezze meg kezelőorvosát.

Felnőttek számára a gyógyszer szokásos kezdőadagja napi háromszor egy 250 mg-os kapszula. A gyógyszer maximális adagja napi négyszer egy 250 mg-os kapszula. A kapszulákat egészben, vízzel kell lenyelni, minden nap megközelítőleg ugyanabban az időpontban. A kapszulák étkezéskor, illetve étkezéstől függetlenül is bevehetők. Orvosa az adag növelése mellett dönthet attól függően, hogy az Ön szervezete hogyan reagál a kezelésre. Kezelőorvosa tájékoztatni fogja arról, hány kapszulára van szüksége, és azokat mikor kell bevennie.

Alkalmazása (1 hónapostól 18 évesig terjedő életkorú) gyermekeknél

Csecsemőknél és gyermekeknél az adagot a testsúly alapján kell számítani. A kezdőadag testsúlykilogrammmra számolva napi 5 mg. A gyógyszer maximális adagja gyermekeknél, testsúlykilogrammmra számolva napi 15 mg. A kezelőorvos dönti el, hogy gyermeke mikor és hányszor kapja az adott adag(oka)t a teljes napi adag eléréséhez. Kezelőorvosa az adag módosítása mellett dönthet attól függően, hogy gyermeke szervezete hogyan reagál a kezelésre.

A kapszula lenyelésére képtelen csecsemők és gyermekek esetén és/vagy akiknek 250 mg alatti adagban kell szedniük a gyógyszert, a kapszula széthyitható, és a tartalma 8,4%-os nátrium-bikarbonát-oldattal elegyíthető. A hatóanyagot – és nem a kapszula teljes tartalmát – feloldják a nátrium-bikarbonát-oldatban, és így keverék formájában jelenik meg. A keveréket a gyógyszerésze biztosítja az Ön számára. Kezelőorvosa vagy gyógyszerésze tájékoztatni fogja arról, hogy gyermeke mennyit és milyen gyakran vegyen be a keverékből.

Ha az előírtnál több Chenodeoxycholic acid Leadiant vett be

A Chenodeoxycholic acid Leadiant valószínűleg nem fog súlyos mellékhatásokat okozni, de ha Ön vagy gyermeke nagyobb adagot vett be az előírtnál, forduljon kezelőorvosához.

Ha elfelejtette bevenni a Chenodeoxycholic acid Leadiant

Vegye be a következő adagot, amikor egyébként is bevinné. Ne vegyen be kétszeres adagot a kihagyott adag pótlására.

Ha idő előtt abbahagyja a Chenodeoxycholic acid Leadiant szedését

Ez a gyógyszer hosszú távú kezelésre szolgál. Ne hagyja abba a Chenodeoxycholic acid Leadiant szedését, míg nem beszélt kezelőorvosával. Ha abbahagyja a gyógyszer szedését, tünetei súlyosbodhatnak.

Ha bármilyen további kérdése van a gyógyszer alkalmazásával kapcsolatban, kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

4. Lehetséges mellékhatások

Mint minden gyógyszer, így ez a gyógyszer is okozhat mellékhatásokat, amelyek azonban nem mindenkinél jelentkeznek.

Nem ismert (a rendelkezésre álló adatokból nem megállapítható) gyakoriságú mellékhatások:

- Székrekedés
- Kóros májfunkciós értékek

Mellékhatások bejelentése

Ha Önnél bármilyen mellékhatás jelentkezik, tájékoztassa kezelőorvosát vagy gyógyszerészét. Ez a betegtájékoztatóban fel nem sorolt bármilyen lehetséges mellékhatásra is vonatkozik. A mellékhatásokat közvetlenül a hatóság részére is bejelentheti az [V. függelékben található elérhetőségek valamelyikén keresztül](#). A mellékhatások bejelentésével Ön is hozzájárulhat ahhoz, hogy minél több információ álljon rendelkezésre a gyógyszer biztonságos alkalmazásával kapcsolatban.

5. Hogyan kell a Chenodeoxycholic acid Leadiant tárolni?

A gyógyszer gyermekektől elzárva tartandó!

A dobozon és a buborékfólián feltüntetett lejárati idő („Felhasználható:”) után ne alkalmazza a gyógyszert. A lejárati idő az adott hónap utolsó napjára vonatkozik. Semmilyen gyógyszert ne dobjon a szennyvízbe vagy a háztartási hulladékba. Kérdezze meg gyógyszerészét, hogy mit tegyen a már nem használt gyógyszereivel. Ezek az intézkedések elősegítik a környezet védelmét.

6. A csomagolás tartalma és egyéb információk

- **Mit tartalmaz a Chenodeoxycholic acid Leadiant?**
- A készítmény hatóanyaga a kenodezoxikólsav.
- Minden kapszula 250 mg kenodezoxikólsavat tartalmaz.
- Egyéb összetevők:
 - A kapszula tartalma: kukoricakeményítő, magnézium-sztearát, vízmentes koloid szilícium-dioxid, víz
 - Kapszulahéj: zselatin, titán-dioxid (E 171), kinolinsárga (E 104), eritrozín (E 127)

Milyen a Chenodeoxycholic acid Leadiant külleme, és mit tartalmaz a csomagolás?

A Chenodeoxycholic acid Leadiant kemény kapszula formájában kapható. A kapszulák alsó része sárga, felső része narancssárga, és fehér, préselt port tartalmaznak.

A Chenodeoxycholic acid Leadiant 100 kemény kapszulát tartalmazó buborékfólia csomagolásban kapható.

A forgalomba hozatali engedély jogosultja

Leadiant GmbH
Liebherrstr. 22
80538 München
Németország
e-mail: info@leadiantbiosciences.com

Gyártó

Pharmaloop S.L.
C/Bolivia, no 15 Polígono Industrial Azque
Alcalá de Henares
Madrid 28806
Spanyolország

A betegtájékoztató legutóbbi felülvizsgálatának dátuma:<{ÉÉÉÉ/HH}>.

Egyéb információforrások

A gyógyszerről részletes információ az Európai Gyógyszerügynökség internetes honlapján található: <http://www.ema.europa.eu>. Ugyanitt más, a ritka betegségekre és kezelésükre vonatkozó információt tartalmazó honlapok címei is megtalálhatók.

Kizárólag egészségügyi szakembereknek szóló információk

A kapszula lenyelésére képtelen betegek

A kapszula lenyelésére képtelen gyermekek, serdülők és felnőttek esetén és/vagy akiknek 250 mg alatti adagban kell szedniük a gyógyszert, a kapszula széthyitható, és a tartalma 25 ml (1 mmol/ml koncentrációjú) 8,4%-os nátrium-bikarbonát-oldathoz adható, és így egy, a kenodezoxikólsavat 10 mg/ml koncentrációban tartalmazó szuszpenzió keletkezik.

A csecsemők esetében a kapszula széthyitható, és a tartalma 50 ml (1 mmol/ml koncentrációjú) 8,4%-os nátrium-bikarbonát-oldathoz adható, és így egy, a kenodezoxikólsavat 5 mg/ml koncentrációban tartalmazó szuszpenzió keletkezik.

A keveréket addig kell kevergetni, míg az összes por szuszpenziót nem képez. Kaparja le az összes port az edény oldaláról a keverékbe, és csomósodásmentesen keverje el (mintegy 5 percig). A keverék akkor használatkész, ha nem látható benne csomósodás vagy por.

Az így előállított szuszpenzió nátriumkoncentrációja 22,9 mg/ml, amit a betegnek kontrollált nátriumdiéta esetén figyelembe kell vennie.

Ajánlatos, hogy ezt a szuszpenziót gyógyszertárban állítsák elő, és a szülő tájékoztatást kapjon a szuszpenzió alkalmazásának módjáról.

A szuszpenziót üvegben kell tárolni. Hűtőszekrényben nem tárolható, és nem fagyasztható. A szuszpenzió ezután legfeljebb 7 napig marad stabil.

A gyógyszertárnak megfelelő térfogatú, és a szuszpenzió alkalmazásához alkalmas osztással ellátott szájfecskendőket kell biztosítani. A megfelelő mennyiséget lehetőség szerint jelölni kell a szájfecskendőn.

Az üvegen el kell helyezni egy gyógyszertári címkét, amelyen fel kell tüntetni a következőket: a beteg neve, adagolási utasítás, felhasználhatósági idő, a gyógyszer neve és a helyi gyógyszerészeti előírásoknak való megfeleléshez szükséges valamennyi szükséges adat.

A kezelőorvosnak tájékoztatást kell adnia a gyerek súlyának figyelembevételével alkalmazandó adagról. A gyerekekre vonatkozó dózistartomány 5–15 mg/kg/nap.

*Az adag kiszámítása (1–12 éves gyerekek, 12–18 éves serdülők és felnőttek esetében) – a kenodezoxikólsavat **10 mg/ml** koncentrációban tartalmazó szuszpenzió*

Napi adag:	$(\text{Testsúly (kg)}) \times (\text{adag (mg/kg)}) = \text{napi adag (mg)}$
Felosztott adag*	$\frac{(\text{Napi adag (mg)})}{\text{Adagolási gyakoriság}} = \text{osztott adag (mg)}$
Alkalmazandó mennyiség:	$(\text{Osztott adag (mg)} \times \mathbf{1 \text{ ml}}) = \text{adagolandó szuszpenziómennyiség}$ 10 mg
Példa:	<p>Egy 10 kg testsúlyú beteg 15 mg/kg kenodezoxikólsavat kap.</p> <p>A teljes napi adag = $10 \text{ kg} \times 15 \text{ mg/kg} = 150 \text{ mg}$</p> <p>Az adag napi három részre való felosztása esetén = $\frac{150 \text{ mg}}{3} = 50 \text{ mg}$</p> <p>Az adagolandó szuszpenzió megfelelő mennyisége = $\frac{(50 \text{ mg} \times 1 \text{ ml})}{10 \text{ mg}} = \mathbf{5 \text{ ml}}$</p>
*osztott adagok száma a kezelőorvos tanácsának megfelelően.	

*Az adag kiszámítása (1 hónapos – 1 éves gyerekek esetében) – a kenodezoxikólsavat **5 mg/ml** koncentrációban tartalmazó szuszpenzió*

Napi adag:	$(\text{Testsúly (kg)}) \times (\text{adag (mg/kg)}) = \text{napi adag (mg)}$
Osztott adag*	$\frac{(\text{Napi adag (mg)})}{(\text{Adagolási gyakoriság})} = \text{osztott adag (mg)}$
Alkalmazandó mennyiség:	$(\text{Osztott adag (mg)} \times \mathbf{1 \text{ ml}}) = \text{adagolandó szuszpenziómennyiség}$ 5 mg
Példa:	<p>Egy 3 kg testsúlyú beteg 5 mg/kg kenodezoxikólsavat kap.</p> <p>A teljes napi adag = $3 \text{ kg} \times 5 \text{ mg/kg} = 15 \text{ mg}$</p> <p>Az adag napi három részre való felosztása esetén = $\frac{15 \text{ mg}}{3} = 5 \text{ mg}$</p> <p>Az adagolandó szuszpenzió megfelelő mennyisége = $\frac{(5 \text{ mg} \times 1 \text{ ml})}{5 \text{ mg}} = \mathbf{1 \text{ ml}}$</p>
*osztott adagok száma a kezelőorvos tanácsának megfelelően.	