



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/241528/2017
EMA/H/C/004061

Resumen del EPAR para el público general

Ácido quenodesoxicólico Leadiant¹

ácido quenodesoxicólico

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) para Ácido quenodesoxicólico Leadiant. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado el medicamento y ha emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Ácido quenodesoxicólico Leadiant.

Para más información sobre el tratamiento con Ácido quenodesoxicólico Leadiant, el paciente debe leer el prospecto (también incluido en el EPAR) o consultar a su médico o farmacéutico.

¿Qué es Ácido quenodesoxicólico Leadiant y para qué se utiliza?

Ácido quenodesoxicólico Leadiant es un medicamento que contiene el principio activo ácido quenodesoxicólico. Este compuesto es un «ácido biliar primario», es decir, uno de los principales componentes de la bilis (un líquido que produce el hígado y que ayuda a digerir las grasas).

Ácido quenodesoxicólico Leadiant se utiliza para el tratamiento de xantomatosis cerebrotendinosa en adultos y niños a partir de un mes de edad. Estos pacientes no pueden producir suficiente ácido biliar primario, el quenodesoxicólico, debido a anomalías genéticas que dan lugar a la ausencia de la enzima hepática 27-esterol-hidroxilasa. Al carecer de ácidos biliares primarios, el organismo produce ácidos biliares anómalos y otras sustancias que se acumulan en todo el organismo y provocan daños.

Dado que el número de pacientes afectados es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Ácido quenodesoxicólico Leadiant fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 16 de diciembre de 2014.

¹ Anteriormente conocido como Ácido quenodesoxicólico sigma-tau.



Ácido quenodesoxicólico Leadiant es un «medicamento híbrido». Esto significa que es similar a un «medicamento de referencia» que contiene el mismo principio activo. El medicamento de referencia de Ácido quenodesoxicólico Leadiant es Xenbilox. No obstante, Xenbilox se diferencia de Ácido quenodesoxicólico Leadiant en que está autorizado para un uso distinto (disolución de los cálculos biliares de colesterol).

¿Cómo se usa Ácido quenodesoxicólico Leadiant?

Ácido quenodesoxicólico Leadiant solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe iniciarlo y supervisarlo un médico con experiencia en el diagnóstico y el tratamiento de la xantomatosis cerebrotendinosa u otras enfermedades relacionadas con la producción de ácido biliar primario.

Ácido quenodesoxicólico Leadiant se presenta en cápsulas (250 mg) que se toman tres veces al día aproximadamente a la misma hora cada día. Para cada paciente se elegirá una dosis diaria que podrá ajustarse durante el tratamiento en función de su edad, de la función hepática y de las concentraciones de ácidos biliares en sangre y orina. Para niños pequeños y niños que no pueden tragar cápsulas, el contenido de las mismas se mezclará con una solución de bicarbonato sódico al 8,4 % hasta obtener una consistencia líquida.

Para más información, consulte el prospecto.

¿Cómo actúa Ácido quenodesoxicólico Leadiant?

El ácido quenodesoxicólico es uno de los principales ácidos biliares primarios producidos por el hígado. El ácido quenodesoxicólico que contiene este medicamento sustituye al ácido quenodesoxicólico del que carece el paciente. Esto ayuda a reducir la producción de sustancias anormales y contribuye a la actividad normal de la bilis en el sistema digestivo, y alivia así los síntomas de esta patología.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Ácido quenodesoxicólico Leadiant en los estudios realizados?

Ácido quenodesoxicólico Leadiant ha sido objeto de investigación en un estudio donde se analizaron las historias clínicas de 35 pacientes con xantomatosis cerebrotendinosa a quienes se les administró ácido quenodesoxicólico durante nueve años aproximadamente. De los 23 pacientes de quienes había datos sobre la concentración en sangre de ácidos biliares, todos ellos experimentaron una reducción de los niveles (reducción media de 56–69 $\mu\text{mol/l}$). De los 14 pacientes de quienes no había datos sobre la concentración en sangre de ácidos biliares, el 79 % (11 de 14) experimentó una reducción de los niveles en el último análisis realizado. En la mayoría de los pacientes también se observó una mejoría de los síntomas de la enfermedad: todos comunicaron una mejoría en la diarrea, el 89 % mostró una mejoría en cuanto a su capacidad mental, el 60 % mostró una mejoría en la movilidad, mientras que el 85 % y el 77 % mostraron una mejoría a nivel psiquiátrico basada en dos puntuaciones distintas.

¿Cuál es el riesgo asociado a Ácido quenodesoxicólico Leadiant?

Los efectos adversos observados de Ácido quenodesoxicólico Leadiant son el estreñimiento y valores anómalos en los análisis de actividad hepática. Sin embargo, su frecuencia no ha podido estimarse de modo fiable a partir de los limitados datos que hay disponibles. Estos efectos presentaron una gravedad de grado leve o moderado, y duraron poco tiempo.

La lista completa de restricciones se puede consultar en el prospecto.

¿Por qué se ha aprobado Ácido quenodesoxicólico Leadiant?

El ácido quenodesoxicólico se ha utilizado para el tratamiento de la xantomatosis cerebrotendinosa durante 40 años aproximadamente, aunque no se había autorizado para este uso. Sin embargo, debido a la rareza de la enfermedad, los datos disponibles sobre el uso del medicamento siguen siendo limitados. No obstante, los estudios realizados han revelado que este medicamento es beneficioso para los pacientes y no se han observado efectos adversos significativos. El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia decidió que los beneficios de Ácido quenodesoxicólico Leadiant son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

Ácido quenodesoxicólico Leadiant se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Ácido quenodesoxicólico Leadiant debido a la rareza de la enfermedad. La Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará anualmente la información nueva que pueda estar disponible y esta Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto (RCP) se actualizará cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Ácido quenodesoxicólico Leadiant?

Dado que Ácido quenodesoxicólico Leadiant ha sido autorizado en circunstancias excepcionales, la compañía que comercializa este medicamento realizará un registro para supervisar sus beneficios y su seguridad.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Ácido quenodesoxicólico Leadiant?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Ácido quenodesoxicólico Leadiant se han incluido en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y el Prospecto.

Otras informaciones sobre Ácido quenodesoxicólico Leadiant

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Ácido quenodesoxicólico sigma-tau el 10 de abril de 2017. El nombre del medicamento se cambió por Ácido quenodesoxicólico Leadiant el 12 de mayo de 2017.

El EPAR completo de Ácido quenodesoxicólico Leadiant se puede consultar en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para más información sobre el tratamiento con Ácido quenodesoxicólico Leadiant, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Ácido quenodesoxicólico Leadiant se puede consultar en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 06-2017