



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100678/2016
EMA/H/C/002081

Resumen del EPAR para el público general

Kolbam ácido cólico

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Kolbam. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado dicho medicamento y 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 Kolbam.

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

¿Qué es Kolbam y para qué se utiliza?

Kolbam es un medicamento que contiene el principio activo ácido cólico. 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).

Kolbam está autorizado para el tratamiento, durante toda la vida, de adultos y niños a partir de un mes de edad que no pueden producir suficientes ácidos biliares primarios, como el ácido cólico, debido a ciertas anomalías genéticas que dan lugar a una carencia de las siguientes enzimas hepáticas: esteroil 27-hidroxilasa; 2-metilacil-CoA racemasa; o colesterol 7 α -hidroxilasa.

Cuando faltan los ácidos biliares primarios, el organismo produce ácidos biliares anormales que pueden dañar el hígado y desencadenar una insuficiencia hepática potencialmente mortal. Esta patología se conoce como «errores congénitos en la síntesis de ácidos biliares primarios».

Dado que el número de pacientes afectados por errores congénitos en la síntesis de los ácidos biliares primarios es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Kolbam fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 28 de octubre de 2009.



¿Cómo se usa Kolbam?

Kolbam solo se puede obtener con receta médica y el tratamiento debe comenzar y mantenerse bajo la supervisión de un médico especialista en las enfermedades que se tratan con Kolbam.

Kolbam se presenta en forma de cápsulas (50 y 250 mg). La dosis diaria se elige y se ajusta durante el tratamiento para cada paciente, dependiendo de los niveles de ácidos biliares en sangre y orina y de su función hepática. La dosis máxima diaria no debe superar los 15 mg por kilogramo de peso corporal.

Kolbam se debe tomar todos los días a la misma hora aproximadamente, con una comida. Para los niños pequeños que no pueden tragar las cápsulas, el contenido puede mezclarse con preparados para lactantes, leche materna extraída, puré de patata o puré de frutas.

Para mayor información, consulte el prospecto.

¿Cómo actúa Kolbam?

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

¿Qué beneficios ha demostrado tener Kolbam en los estudios realizados?

Kolbam se investigó en un estudio principal en el que participaron 52 pacientes con errores congénitos en la síntesis de ácidos biliares primarios, entre ellos 7 pacientes que carecían de esteroil 27-hidroxilasa, 2-metilacil-CoA racemasa o colesterol 7 α -hidroxilasa. Las principales medidas de eficacia fueron los cambios en los niveles de ácidos biliares y en la función hepática antes y después del tratamiento con Kolbam. La eficacia de Kolbam para las indicaciones autorizadas se estableció de acuerdo a los resultados de este estudio. Estos resultados fueron coherentes con las expectativas clínicas y los datos de la literatura científica.

¿Cuál es el riesgo asociado a Kolbam?

Los efectos adversos de Kolbam son generalmente de gravedad leve o moderada y pasajeros. Los efectos adversos más frecuentes (observados en hasta un paciente de cada 10) son neuropatía periférica (lesiones en los nervios de manos y pies), diarrea, náuseas (ganas de vomitar), reflujo ácido (ácidos gástricos que suben hasta la boca), esofagitis (inflamación del esófago), ictericia (coloración amarillenta de la piel y los ojos), problemas cutáneos (lesiones) y malestar general.

Kolbam no se debe usar en combinación con fenobarbital (un medicamento para la epilepsia).

Para consultar la lista completa de efectos adversos y restricciones, ver el prospecto.

¿Por qué se ha aprobado Kolbam?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia decidió que los beneficios de Kolbam son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE. El CHMP llegó a la conclusión de que Kolbam tiene efectos beneficiosos para los pacientes con carencias de las siguientes enzimas hepáticas: esteroil 27-hidroxilasa; 2-metilacil-CoA racemasa; y colesterol 7 α -hidroxilasa. Por lo que respecta a su seguridad, los efectos adversos parecen no ser graves y sí reversibles.

Kolbam se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información exhaustiva sobre Kolbam debido a la rareza de la enfermedad. Cada año, la

Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará la nueva información disponible y el presente resumen se actualizará cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Kolbam?

Dado que Kolbam se ha autorizado en circunstancias excepcionales, la empresa que comercializa Kolbam realizará un seguimiento de los beneficios y la seguridad de Kolbam a partir de un registro de pacientes y proporcionará actualizaciones anuales.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Kolbam?

Se ha elaborado un plan de gestión de riesgos para garantizar que Kolbam se administra de una forma lo más segura posible. Basándose en este plan, se ha incluido en el Resumen de las Características del Producto y el prospecto de Kolbam la información sobre seguridad que incluye las precauciones pertinentes que deben adoptar los profesionales sanitarios y los pacientes.

Además, la empresa que comercializa Kolbam proporcionará material de formación con información sobre el uso correcto y seguro de Kolbam a todos los médicos que pudieran prescribir este medicamento.

Encontrará más información en el [resumen del plan de gestión de riesgos](#)

Otras informaciones sobre Kolbam

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Kolbam el 20 de noviembre de 2015.

El EPAR completo y el resumen del plan de gestión de riesgos de Kolbam pueden consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports) Para mayor información sobre el tratamiento con Kolbam, 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 Kolbam puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

Fecha de la última actualización del presente resumen: 02-2016.