



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumen del EPAR para el público general

---

# Orphacol

## ácido cólico

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

Si desean obtener información práctica sobre cómo usar Orphacol, los pacientes deberán leer el prospecto o ponerse en contacto con su médico o farmacéutico.

### ¿Qué es Orphacol y para qué se utiliza?

Orphacol es un medicamento que contiene ácido cólico, una sustancia que se encuentra en la bilis y ayuda a digerir las grasas.

Se utiliza para tratar a adultos y niños a partir del mes de edad que presentan una anomalía genética que les impide producir bilis. Orphacol se utiliza en pacientes con cantidades insuficientes de dos enzimas hepáticas específicas ( $3\beta$ -hidroxi- $\Delta^5$ - $C_{27}$ -esteroide oxidoreductasa o  $\Delta^4$ -3-oxosteroide- $5\beta$ -reductasa). Esta carencia imposibilita la producción en el hígado de una cantidad suficiente de los principales componentes de la bilis, los llamados ácidos biliares primarios, como el ácido cólico. Al carecer de estos ácidos biliares primarios, se producen ácidos biliares anormales que pueden dañar el hígado y desencadenar una insuficiencia hepática potencialmente mortal.

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 Orphacol fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 18 de diciembre de 2002.



## ¿Cómo se usa Orphacol?

El medicamento solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento con Orphacol se debe iniciar bajo la supervisión de un especialista en enfermedades hepáticas.

Orphacol se presenta en forma de cápsulas y debe tomarse todos los días aproximadamente a la misma hora, con alimento. La dosis diaria es de 5 a 15 mg por kg de peso corporal, que se ajusta para cada paciente dependiendo del nivel de ácidos biliares que presente, con una dosis diaria mínima de 50 mg y una máxima de 500 mg. Para los niños pequeños que no pueden tragar las cápsulas, el contenido puede mezclarse con leche maternizada o zumo. Se debe suspender el tratamiento si la función hepática no mejora en el plazo de tres meses.

## ¿Cómo actúa Orphacol?

El ácido cólico es el principal ácido biliar que produce el hígado. Este ácido presente en Orphacol suplente el ácido cólico del que carece el paciente. De esta forma ayuda a reducir la producción de ácidos biliares anormales y contribuye a normalizar la actividad de la bilis en el sistema digestivo, aliviando los síntomas de la afección.

## ¿Qué beneficios ha demostrado Orphacol en los estudios realizados?

Como el ácido cólico es una sustancia bien conocida y su uso en los casos de deficiencias de enzimas está bien establecido, el solicitante presentó datos de la bibliografía científica. El solicitante presentó datos de 49 pacientes con errores congénitos en la síntesis de ácidos biliares primarios, tomados de la bibliografía científica (38 pacientes con deficiencia de  $3\beta$ -hidroxi- $\Delta^5$ -C<sub>27</sub>-esteroide oxidorreductasa y 11 pacientes con deficiencia de  $\Delta^4$ -3-oxosteroide-5 $\beta$ -reductasa). En dicha bibliografía se comparaban los resultados de 28 pacientes que recibieron ácido cólico con otros que recibieron distintos ácidos biliares o que no recibieron tratamiento con ácidos biliares.

En la bibliografía científica se demostró que el tratamiento con ácido cólico reducía la cantidad de ácidos biliares anormales en los pacientes, para restablecer las funciones normales del hígado y para ayudar a retrasar o prevenir la necesidad de un trasplante hepático.

## ¿Cuál es el riesgo asociado a Orphacol?

Los efectos secundarios observados con Orphacol fueron diarrea, prurito (picor), aumento de los niveles de transaminasas (enzimas hepáticas) y posiblemente formación de cálculos biliares, aunque no se pudo estimar la frecuencia de forma precisa por lo limitado de los datos disponibles.

Orphacol no se debe utilizar en personas que puedan ser hipersensibles (alérgicas) al ácido cólico o a cualquiera de los restantes componentes del medicamento. No deben tomarlo los pacientes que ya estén tomando fenobarbital, un medicamento que se usa para tratar la epilepsia.

## ¿Por qué se ha aprobado Orphacol?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) observó que el uso de ácido cólico para tratar los errores congénitos en la síntesis de ácidos biliares primarios estaba bien establecido en la práctica médica y documentado en la bibliografía científica, aunque el número de casos documentados era bajo debido a la rareza de la enfermedad. Basándose en los datos de la bibliografía científica decidió que los beneficios de Orphacol son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su comercialización.

Orphacol se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Orphacol debido a la rareza de la enfermedad. Cada año, la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará la nueva información disponible y actualizará el presente resumen en caso necesario.

### **¿Qué información falta todavía sobre Orphacol?**

Como Orphacol se ha aprobado en circunstancias excepcionales, la empresa que comercializa Orphacol establecerá una base de datos de pacientes tratados con Orphacol para controlar la seguridad y eficacia del tratamiento y presentará los resultados al CHMP a intervalos regulares especificados.

### **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro de Orphacol?**

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

La empresa que elabora Orphacol también entregará a los médicos de todos los Estados miembros que usan Orphacol un paquete con bibliografía sobre el producto e información sobre el diagnóstico correcto de estas enfermedades, los riesgos de efectos secundarios y cómo usar el medicamento adecuadamente.

### **Otras informaciones sobre Orphacol**

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para Orphacol el 12 de septiembre de 2013.

El EPAR completo de Orphacol puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Para más información sobre el tratamiento con Orphacol, 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 Orphacol puede consultarse en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Fecha de la última actualización del presente resumen: 09-2013.