



EMA/100679/2016
EMA/H/C/002081

Kokkuvõte üldsusele

Kolbam

koolhape

See on ravimi Kolbam Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloo andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta Kolbami kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate Kolbami kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Mis on Kolbam ja milleks seda kasutatakse?

Kolbam on ravim, mis sisaldab toimeainena koolhapet. Koolhape on esmane sapphape, mis on sapi (maksa eritav vedelik, mis aitab rasvu seedida) põhikomponent.

Kolbam on heaks kiidetud nende täiskasvanute ja vähemalt 1-kuuste laste eluaegseks raviks, kelle organismis ei teki piisavalt esmaseid sapphappeid (nt koolhapet) teatud geenihäirete tõttu, mis tekitavad järgmiste maksaensüümide vaegust: sterool-27-hüdroksülaas, 2-metüülatsüül-CoA-ratsemaas või kolesterool-7 α -hüdroksülaas.

Esmaste sapphapete puudumise korral tekivad organismis nende asemel ebanormaalsed sapphapped, mis võivad kahjustada maksa ja põhjustada eluohtlikku maksapuudulikkust. Seda seisundit nimetatakse esmaste sapphapete sünteesi kaasasündinud häireks.

Et esmaste sapphapete sünteesi kaasasündinud häirega patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Kolbam 28. oktoobril 2009 harvikravimiks.

Kuidas Kolbamit kasutatakse?

Kolbam on retseptiravim. Ravi peab alustama ja jälgima arst, kes on spetsialiseerunud Kolbamiga ravitavate haiguste ravimisele.



Kolbami turustatakse kapslitena (50 mg ja 250 mg). Ööpäevane annus valitakse ja seda kohandatakse ravi ajal iga patsiendi jaoks eraldi, sõltuvalt sapphapete kontsentratsioonist veres ja uriinis ning maksafunktsioonist. Ööpäevane maksimaalne annus ei tohi ületada 15 mg kehamaassi kg kohta.

Kolbami tuleb iga päev võtta ligikaudu samal kellaajal koos toiduga. Lastele, kes ei saa kapsleid neelata, tohib kapsli sisu segada imikutoidu, väljutatud rinnapiima, kartulipudru või puuviljapüreega.

Üksikasjalik teave on pakendi infolehel.

Kuidas Kolbam toimib?

Koolhape on üks maksas tekkivatest peamistest esmastest sapphapetest. Kolbami sisalduv koolhape asendab patsiendi puuduvat koolhapet. See aitab vähendada ebanormaalsete sapphapete teket ja soodustab sapi normaalset toimimist seedesüsteemis, leevendades sel teel haiguse sümptomeid.

Milles seisneb uuringute põhjal Kolbami kasulikkus?

Kolbami uuriti ühes põhiuuringus, kus osales 52 esmaste sapphapete sünteesi kaasasündinud häirega patsienti, sealhulgas 7 patsienti, kellel oli kas sterool-27-hüdroksülaasi, 2-metüülatsüül-CoA-ratsemaasi või kolesterool-7 α -hüdroksülaasi vaegus. Efektiivsuse põhinäitajad olid sapphappe kontsentratsiooni ja maksafunktsiooni muutused enne ning pärast ravi Kolbami. Uuringu tulemuste põhjal tehti kindlaks Kolbami efektiivsus heakskiidetud näidustustel. See oli kooskõlas kliiniliste eelduste ja kirjandusandmetega.

Mis riskid Kolbami kaasnevad?

Kolbami kõrvalnähtude on üldiselt kerged kuni mõõdukad ja ajutised. Kõige sagedamad kõrvalnähtud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on perifeerne neuropaatia (jäsemete närvikahjustus), kõhulahtisus, iiveldus, maohappe refluks (maohappe tagasivool suhu), ösofagiit (söögitorupõletik), ikterus (naha ja silmavalgete kollasus), nahakahjustused ja halb enesetunne.

Kolbami ei tohi kasutada koos fenobarbitaaliga (teatud epilepsiaravim).

Kolbami kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Kolbam heaks kiideti?

Inimravimite komitee otsustas, et Kolbami kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas ravimi kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita. Inimravimite komitee järeldas, et Kolbamil on kasulikud toimed patsientidele, kellel on järgmiste maksaensüümide puudulikkus: sterool-27-hüdroksülaas, 2-metüülatsüül-CoA-ratsemaas ja kolesterool-7 α -hüdroksülaas. Ohutusega seoses olid kõrvalnähtud mõõdukad ja pöörduvad.

Kolbami müügiluba anti erandkorras. See tähendab, et harvaesineva haiguse tõttu ei olnud võimalik saada Kolbami kohta täielikku teavet. Euroopa Raviamet vaatab kogu uue teabe igal aastal läbi ja vajaduse korral uuendab käesolevat kokkuvõtet.

Mis teavet Kolbami kohta veel oodatakse?

Et Kolbam kiideti heaks erandkorras, jälgib Kolbami turustaja ravimi kasulikkust ja ohutust patsiendiregistri alusel ning esitab kord aastas uue teabe.

Mis meetmed võetakse, et tagada Kolbami ohutu ja efektiivne kasutamine?

Töötati välja riskijuhtimiskava, et tagada Kolbami võimalikult ohutu kasutamine. Selle alusel lisati Kolbami omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele ravimi ohutusteave, kus on ka tervishoiuspetsialistide ja patsientide võetavad meetmed.

Peale selle annab Kolbami turustaja kõigile arstidele, kes võivad määrata ravi selle ravimiga, Kolbami õige ja ohutu kasutamise teabematerjalid.

Lisateave on [riskijuhtimiskava kokkuvõttes](#)

Muu teave Kolbami kohta

Euroopa Komisjon andis Kolbami müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 20. novembril 2015.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst ja riskijuhtimiskava kokkuvõte Kolbami kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports Kui vajate Kolbamiga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Kolbami kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 02-2016.

Ravimilõp müügiluba lõppenud