



EMA/100680/2016
EMA/H/C/002081

Julkinen EPAR-yhteenveto

Kolbam koolihappo

Tämä on tiivistelmä Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Kolbam-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt suositukseen myyntiluvan myöntämisestä ja lääkkeen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Kolbamin käytöstä.

Potilas saa Kolbamin käyttöä koskevia käytännön tietoja pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Kolbam on ja mihin sitä käytetään?

Kolbam on lääke, jonka vaikuttava aine on koolihappo. Kyseessä on primaarinen sappihappo, sapon pääasiallinen aineosa (maksan tuottama neste, joka edistää ruuansulatusta rasvojen osalta).

Kolbam on hyväksytty elinikäiseen hoitoon aikuisille ja vähintään kuukauden ikäisille lapsille, jotka eivät tuota tarpeeksi primaarisia sappihappoja, kuten koolihappoa, tiettyjen geneettisten poikkeavuuksien vuoksi, joista aiheutuu seuraavien maksaentsyymien puutos: steroli-27-hydroksylaasi, 2-metyyliasyyli-CoA-rasemaasi tai kolesteroli-7 α -hydroksylaasi.

Kun primaarisia sappihappoja ei ole, elimistö tuottaa poikkeavia sappihappoja, jotka voivat vaurioittaa maksaa ja aiheuttaa mahdollisesti jopa hengenvaarallisen maksan vajaatoiminnan. Sairaus tunnetaan primaaristen sappihappojen synteessin synnynnäisinä häiriöinä.

Koska primaaristen sappihappojen synteessin synnynnäisiä häiriöitä sairastavien potilaiden määrä on vähäinen, sairaus katsotaan harvinaiseksi, ja Kolbam määriteltiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoitoon käytettävä lääke) 28. lokakuuta 2009.

Miten Kolbamia käytetään?

Kolbamia saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa lääkäri, joka on erikoistunut Kolbamilla hoidettavien sairauksien hoitoon, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa.



Kolbamia on saatavana kapseleina (50 ja 250 mg). Päiväannos valitaan potilaskohtaisesti, ja sitä muutetaan hoidon aikana potilaan veren ja virtsan sappihappopitoisuuden ja maksan toiminnan perusteella. Enimmäisannos on 15 mg painokiloa kohden päivässä, eikä sitä saa ylittää.

Kolbam otetaan suunnilleen samaan aikaan joka päivä ruokailun yhteydessä. Pienille lapsille, jotka eivät osaa niellä kapseleita, kapselit voidaan avata ja sisältö voidaan lisätä äidinmaidonkorvikkeeseen, pumpattuun rintamaitoon tai peruna- tai hedelmäsoseeseen.

Lisätietoja on pakkausselosteessa.

Miten Kolbam vaikuttaa?

Koolihappo on tärkeä maksan tuottama primaarinen sappihappo. Kolbamin sisältämä koolihappo korvaa potilaan puuttuvan koolihapon. Tämä edistää epänormaalien sappihappojen tuotannon vähenemistä ja lisää sapen normaalia toimintaa ruoansulatusjärjestelmässä, jolloin sairauden oireet lievittyvät.

Mitä hyötyä Kolbamista on havaittu tutkimuksissa?

Kolbamia tutkittiin yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 52 primaaristen sappihappojen synteessin synnynnäisiä häiriöitä sairastavaa potilasta. Näistä seitsemällä potilaalla oli steroli-27-hydroksylaasin, 2-metyyliasyyli-CoA-rasemaasin tai kolesteroli-7 α -hydroksylaasin puutos. Tehon pääasiallisena mittana olivat muutokset sappihappopitoisuudessa ja maksan toiminnassa ennen Kolbam-hoitoa ja sen jälkeen. Kolbamin teho hyväksytyissä käyttöaiheissa vahvistettiin tämän tutkimuksen tulosten perusteella. Tulos vastasi kliinisiä odotuksia ja kirjallisuudesta saatuja tietoja.

Mitä riskejä Kolbamiin liittyy?

Kolbamin sivuvaikutukset ovat yleensä lieviä tai keskiasteisia ja ohimeneviä. Yleisimmät sivuvaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat perifeerinen neuropatia (käsien ja jalkojen hermovauriot), ripuli, pahoinvointi, happorefluksi (mahahapon nouseminen suuhun), ruokatorven tulehdus, keltauti (ihon ja silmien keltaisuus), iho-ongelmat (leesiöt) ja huonovointisuus.

Kolbamia ei saa käyttää yhdessä fenobarbitaalin (epilepsialääke) kanssa.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista ilmoitetusta sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Kolbam on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Kolbamin hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli, että se hyväksytään käyttöön EU:ssa. Lääkevalmistekomitea katsoi, että Kolbam vaikuttaa suotuisasti potilailla, joilla on seuraavien maksaentsyymien puutos: steroli-27-hydroksylaasi, 2-metyyliasyyli-CoA-rasemaasi ja kolesteroli-7 α -hydroksylaasi. Turvallisuuden osalta todettakoon, että sivuvaikutukset eivät olleet vakavia ja ne korjaantuivat itseksensä.

Kolbamille on myönnetty myyntilupa poikkeuksellisissa olosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi Kolbamista ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä yhteenvetoa päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Kolbamista odotetaan vielä saatavan?

Koska Kolbamille on myönnetty myyntilupa poikkeuksellisissa olosuhteissa, Kolbamia markkinoiva yhtiö seuraa sen hyötyä ja turvallisuutta potilasrekisterin avulla ja toimittaa vuotuiset päivitykset.

Miten voidaan varmistaa Kolbamin turvallinen ja tehokas käyttö?

Kolbamin mahdollisimman turvallisen käytön varmistamiseksi on laadittu riskinhallintasuunnitelma. Sen perusteella Kolbamin valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen on lisätty turvallisuustietoa, mukaan lukien tiedot asianmukaisista varotoimista terveydenhoidon ammattilaisten ja potilaiden noudatettaviksi.

Lisäksi Kolbamia markkinoiva yhtiö toimittaa kaikille lääkäreille, joiden odotetaan määräävän tätä lääkettä, koulutusmateriaalia, jossa on tietoa Kolbamin oikeasta ja turvallisesta käytöstä

Lisätietoja löytyy [riskinhallintasuunnitelman yhteenvedosta](#)

Muuta tietoa Kolbamista

Euroopan komissio myönsi 20. marraskuuta 2015 koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Kolbamia varten.

Kolbamia koskeva EPAR-arviointilausunto kokonaisuudessaan sekä riskinhallintasuunnitelman yhteenvedo ovat viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lisätietoja Kolbam-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Kolbamista antamasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 02-2016.