

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

Julkinen EPAR-yhteenvedo

Orphacol

koolihappo

Tämä on yhteenvedo Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Orphacol-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päättänyt puoltamaan sitä koskevan myyntiluvan myöntämistä ja suosittamaan sen käyttöä koskevia ehtoja. Sen tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Orphacolin käytöstä.

Potilas saa Orphacolin käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Orphacol on ja mihin sitä käytetään?

Orphacol on lääke, joka sisältää koolihappoa. Se on sappinesteessä oleva aine, jota käytetään rasvojen pilkkomiseen.

Sillä hoidetaan aikuisia ja vähintään kuukauden ikäisiä lapsia, joiden elimistö ei voi tuottaa sappinestettä geneettisen poikkeavuuden vuoksi. Orphacolia käytetään potilailla, joilla ei ole tarpeeksi kahta maksaentsyymiä (3β -hydroksi- Δ^5 -C₂₇-steroidi-oksidoreduktaasia tai Δ^4 -3-okso-steroidi-5 β -reduktaasia). Tämän vuoksi näiden potilaiden maksa ei voi tuottaa tarpeeksi sappinesteen pääaineosia eli primaarisia sappihappoja, kuten koolihappoa. Kun näitä primaarisia sappihappoja ei ole, elimistö tuottaa epänormaaleja sappihappoja, jotka voivat vaurioittaa maksaa ja aiheuttaa mahdollisesti jopa hengenvaarallisen maksan vajaatoiminnan.

Koska synnynnäistä primaaristen sappihappojen synteessin häiriötä sairastavia henkilöitä on vähän, sairaus on harvinainen; Orphacol nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoidossa käytettävä lääke) 18. joulukuuta 2002.

Miten Orphacolia käytetään?

Lääkettä saa vain lääkärin määräyksestä, ja Orphacol-hoidon saa aloittaa vain maksasairauksiin erikoistunut lääkäri, jonka on myös valvottava hoitoa.

Orphacol on saatavana kapseleina, ja se on otettava joka päivä suurin piirtein samaan aikaan ruoan kanssa. Päivittäinen annos on 5–15 mg painokiloa kohti, ja se mukautetaan jokaista potilasta varten sappihappotilanteen perusteella. Pienin päiväannos on 50 mg ja suurin annos 500 mg. Pienille lapsille, jotka eivät osaa niellä kapseleita, niiden sisältö voidaan sekoittaa äidinmaidonkorvikkeeseen tai mehuun. Hoito on lopetettava, jos maksan toiminta ei parane kolmen kuukauden kuluessa.

Miten Orphacol vaikuttaa?

Koolihappo on maksan tuottama tärkein primaarinen sappihappo. Orphacolin sisältämä koolihappo korvaa potilaalta puuttuvan koolihapon. Tämä auttaa vähentämään epänormaalien sappihappojen tuotantoa ja lisää sapen normaalia toimintaa ruoansulatusjärjestelmässä, jolloin sairauden oireet lieviytyvät.

Mitä hyötyä Orphacolistä on havaittu tutkimuksissa?

Koska koolihappo on hyvin tunnettu aine ja sen käyttö näiden entsyymipuutosten hoidossa hyvin vakiintunutta, hakija esitti tieteellisestä kirjallisuudesta peräisin olevia tietoja. Hakija esitti tiedot 49 potilasta, joita on hoidettu synnynnäisen primaaristen sappihappojen synteesin häiriön vuoksi (38 potilasta, joilla oli 3β -hydroksi- Δ^5 -C₂₇-steroidi-oksidoreduktaasin puutos ja 11 potilasta, joilla oli Δ^4 -3-okso-steroidi-5 β -reduktaasin puutos). Yhtiö vertaili 28:n koolihapolla hoidetun potilaan hoitotuloksia muihin potilaisiin, jotka olivat saaneet muita sappihappoja tai jotka eivät olleet saaneet sappihappohoitoa ollenkaan.

Tieteellisessä kirjallisuudessa koolihappohoidon osoitettiin vähentävän epänormaalien sappihappojen määrää potilaissa, palauttavan maksan normaaleja toimintoja sekä siirtävän tai ehkäisevän maksansiirron tarvetta.

Mitä riskejä Orphacoliin liittyy?

Orphacolin yleisimmät sivuvaikutukset olivat ripuli, kutina, transaminaasiarvojen (maksaentsyymiarvojen) kohoaminen ja mahdolliset sappikivet, vaikka niiden yleisyyttä ei voitu arvioida luotettavasti käytettävissä olevien tietojen rajallisuuden vuoksi.

Orphacolia ei saa antaa henkilöille, jotka saattavat olla yliherkkiä (allergisia) koolihapolle tai muille lääkkeen valmistusaineille. Sitä ei saa antaa potilaille, jotka käyttävät fenobarbitaalia (epilepsian hoitoon käytettävä lääke).

Miksi Orphacol on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea (CHMP) totesi, että koolihapon käyttö synnynnäisten primaaristen sappihappojen synteesin häiriöiden hoidossa oli hyvin vakiintunutta lääketieteellisessä käytännössä ja että se oli hyvin dokumentoitu tieteellisessä kirjallisuudessa, joskin dokumentoitujen tapausten määrä oli pieni sairauden harvinaisuuden vuoksi. Lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi tieteelliseen kirjallisuuteen perustuvan näytön perusteella, että Orphacolin hyöty on sen riskejä suurempi, ja suosittelee myyntiluvan myöntämistä sille.

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

Mitä tietoja Orphacolista odotetaan vielä saatavan?

Koska Orphacol on hyväksytty poikkeuksellisissa olosuhteissa, sitä markkinoiva yritys perustaa tietokannan Orphacolilla hoidetuista potilaista hoidon turvallisuuden ja tehon valvontaa varten, ja toimittaa tuloksia lääkevalmistekomitealle säännöllisin ennalta määritetyin väliajoin.

Miten voidaan varmistaa Orphacolin turvallinen ja tehokas käyttö?

Orphacolin mahdollisimman turvallisen käytön varmistamiseksi on kehitetty riskinhallintasuunnitelma. Tämän suunnitelman mukaisesti valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty Orphacolia koskevaa turvallisuustietoa, mukaan lukien terveydenhuollon ammattilaisille ja potilaille tarkoitetut asianmukaiset varotoimet.

Orphacolia valmistava lääkeyhtiö toimittaa kaikkien jäsenvaltioiden Orphacol-hoitoa antaville lääkäreille tietopaketin, joka sisältää valmistetiedot sekä tietoa näiden sairauksien asianmukaisesta diagnosoinnista, sivuvaikutusten riskeistä sekä lääkevalmisteen asianmukaisesta käytöstä.

Muita tietoja Orphacolista

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Orphacolia varten 12. syyskuuta 2013.

Orphacolia koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Lisää tietoja Orphacol-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Orphacolia käsittelevästä lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 09-2013.