



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100681/2016
EMA/H/C/002081

Résumé EPAR à l'intention du public

Kolbam

acide cholique

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Kolbam. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé a conduit à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Kolbam.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Kolbam, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

Qu'est-ce que Kolbam et dans quel cas est-il utilisé?

Kolbam est un médicament qui contient le principe actif acide cholique. C'est un «acide biliaire primaire», c'est-à-dire un des principaux composants de la bile (un liquide qui est produit par le foie et qui facilite la digestion des graisses).

Kolbam est autorisé pour le traitement à vie des adultes et enfants à partir de l'âge d'un mois qui ne peuvent produire suffisamment d'acides biliaires primaires tels que l'acide cholique en raison de certaines anomalies génétiques entraînant un déficit des enzymes hépatiques suivantes: stérol 27-hydroxylase; 2-méthylacyl-CoA racémase; ou cholestérol 7 α -hydroxylase.

Quand des acides biliaires primaires manquent, le corps produit à leur place des acides biliaires anormaux, qui peuvent endommager le foie et entraîner une insuffisance hépatique pouvant engager le pronostic vital. Cette maladie est connue sous le nom de «erreurs congénitales de la synthèse des acides biliaires primaires».

Étant donné le faible nombre de patients touchés par des erreurs congénitales de la synthèse des acides biliaires primaires, cette maladie est dite «rare». C'est pourquoi Kolbam a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 28 octobre 2009.



Comment Kolbam est-il utilisé?

Kolbam n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et surveillé par un médecin spécialiste des maladies pour lesquelles un traitement par Kolbam est indiqué.

Kolbam est disponible sous la forme de gélules (50 et 250 mg). La dose quotidienne est choisie et ajustée au cours du traitement pour chaque patient en fonction de ses taux d'acides biliaires dans le sang et dans l'urine et de sa fonction hépatique. La dose quotidienne maximale ne doit pas dépasser 15 mg par kilogramme de poids corporel.

Kolbam doit être pris chaque jour approximativement à la même heure, au cours d'un repas. Pour les jeunes enfants qui ne peuvent pas avaler les gélules, le contenu peut être mélangé à du lait maternisé, du lait maternel, de la purée de pommes de terre ou de la purée de fruits.

Pour plus d'informations, voir la notice.

Comment Kolbam agit-il?

L'acide cholique est l'un des principaux acides biliaires primaires produits par le foie. L'acide cholique contenu dans Kolbam remplace l'acide cholique manquant chez le patient. Cela aide à diminuer la production d'acides biliaires anormaux et contribue à l'activité normale de la bile dans le système digestif, soulageant ainsi les symptômes de la maladie.

Quels sont les bénéfices de Kolbam démontrés au cours des études?

Kolbam a fait l'objet d'une étude principale incluant 52 patients présentant des erreurs congénitales de la synthèse des acides biliaires primaires, dont 7 patients qui présentaient un déficit soit en stérol 27-hydroxylase, soit en 2-méthylacyl-CoA racémase, soit en cholestérol 7 α -hydroxylase. Les principaux critères d'évaluation de l'efficacité étaient les variations des taux d'acides biliaires et de la fonction hépatique avant et après traitement par Kolbam. L'efficacité de Kolbam pour les indications autorisées a été établie sur la base des résultats de cette étude. Ces résultats correspondaient aux attentes cliniques et aux données de la littérature.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Kolbam?

Les effets indésirables observés sous Kolbam sont en général d'intensité légère à modérée et sont transitoires. Les effets indésirables les plus couramment observés (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont les suivants: neuropathie périphérique (lésions des nerfs dans les mains et les pieds), diarrhée, nausée (envie de vomir), reflux acide (acide de l'estomac qui remonte dans la bouche), œsophagite (inflammation du tube digestif), jaunisse (coloration jaune de la peau et des yeux), problèmes de peau (lésions) et malaise.

Kolbam ne doit pas être utilisé en association avec le phénobarbital (un médicament utilisé pour traiter l'épilepsie).

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions, voir la notice.

Pourquoi Kolbam est-il approuvé?

Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a estimé que les bénéfices de Kolbam sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée. Le CHMP a conclu que Kolbam a des effets bénéfiques chez les patients présentant un déficit des enzymes hépatiques suivantes: stérol 27-hydroxylase, 2-méthylacyl-CoA racémase et cholestérol

7 α -hydroxylase. En ce qui concerne sa sécurité, les effets indésirables se sont avérés non graves et réversibles.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Kolbam. En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Kolbam en raison de la rareté de la maladie. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute nouvelle information disponible et, le cas échéant, procédera à la mise à jour du présent résumé.

Quelles informations sont encore en attente au sujet de Kolbam?

Une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles ayant été délivrée pour Kolbam, la société qui commercialise Kolbam surveillera les bénéfices et la sécurité de Kolbam à partir d'un registre des patients traités par Kolbam et fournira des mises à jour annuelles.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Kolbam?

Un plan de gestion des risques a été élaboré pour s'assurer que Kolbam est utilisé d'une manière aussi sûre que possible. Sur la base de ce plan, des informations de sécurité ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice de Kolbam, y compris les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients.

De plus, la société qui commercialise Kolbam fournira du matériel d'éducation contenant des informations sur l'utilisation correcte et sûre de Kolbam à tous les médecins appelés à prescrire le médicament.

Pour obtenir des informations complémentaires, voir le [résumé du plan de gestion des risques](#).

Autres informations relatives à Kolbam:

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Kolbam, le 20 novembre 2015.

L'EPAR complet et le résumé du plan de gestion des risques relatifs à Kolbam sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous : ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Pour plus d'informations sur le traitement par Kolbam, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Kolbam est disponible sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Dernière mise à jour du présent résumé: 02-2016.