



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100660/2016
EMA/H/C/002081

EPAR, sažetak za javnost

Kolbam

kolna kiselina

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije (EPAR) o lijeku Kolbam. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek da bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o korištenju lijeka Kolbam.

Praktične informacije o korištenju lijeka Kolbam pročitajte u uputi o lijeku, odnosno obratite se svom liječniku ili ljekarniku.

Što je Kolbam i za što se koristi?

Kolbam je lijek koji sadrži djelatnu tvar kolnu kiselinu. Ona je „primarna žučna kiselina“, glavna komponenta žuči (tekućine koju jetra proizvodi kao pomoć u razgradnji masti).

Kolbam se koristi za cjeloživotno liječenje odraslih osoba i djece od jednog mjeseca starosti na dalje, koji ne mogu proizvoditi dovoljno primarnih žučnih kiselina kao što je kolna kiselina zbog genetskih anomalija koje su rezultirale nedostatkom sljedećih jetrenih enzima: sterol 27-hidroksilaze; 2-metilacil-KoA racemaza; ili kolesterol 7 α -hidroksilaze.

Ako te primarne žučne kiseline nedostaju, tijelo umjesto njih proizvodi abnormalne žučne kiseline koje mogu oštetiti jetru, što potencijalno može uzrokovati zatajenje jetre koje je opasno po život. Stanje je poznato kao „prirodne greške u sintezi primarne žučne kiseline“.

Budući da je broj bolesnika s prirodnim greškama u sintezi primarne žučne kiseline nizak, bolest se smatra „rijetkom“ te se Kolbam označava kao lijek za liječenje rijetkih bolesti od 28. listopada 2009.

Kako se Kolbam koristi?

Kolbam se izdaje samo na liječnički recept, a liječenje trebaju započeti i nadzirati liječnici specijalizirani za bolesti za čije se liječenje koristi Kolbam.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Kolbam je dostupan u obliku kapsula (50 i 250 mg). Dnevna se doza odabire za svakog bolesnika i prilagođava mu se tijekom liječenja ovisno o razinama žučnih kiselina u krvi i urinu te funkciji njihove jetre. Maksimalna dnevna doza ne smije premašiti 15 mg po kilogramu tjelesne težine.

Kolbam je potrebno uzimati svakog dana otprilike u isto vrijeme, za vrijeme obroka. U slučaju male djece koja ne mogu progutati kapsule sadržaj se može pomiješati s hranom za dojenčad, izdojenim majčinim mlijekom, pireom od krumpira ili voćnim pireom.

Za dodatne informacije vidjeti uputu o lijeku.

Kako djeluje Kolbam?

Kolna kiselina jedna je od glavnih primarnih žučnih kiselina koju proizvodi jetra. Kolna kiselina sadržana u lijeku Kolbam zamjenjuje kolnu kiselinu koja nedostaje bolesniku. To pomaže u smanjivanju stvaranja abnormalnih žučnih kiselina i pridonosi normalnoj aktivnosti žučne kiseline u probavnom sustavu, čime se ublažavaju simptomi ove bolesti.

Koje su koristi lijeka Kolbam utvrđene u ispitivanjima?

Kolbam je ispitan u jednom glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo 52 bolesnika s prirođenim greškama u sintezi primarne žučne kiseline, uključujući 7 bolesnika koji imaju deficijenciju sterol 27-hidroksilaze, 2- metilacil-KoA racemaze ili kolesterol 7 α - hidroksilaze. Glavna mjera djelotvornosti bila je promjena u razinama žučne kiseline i funkciji jetre prije i nakon liječenja lijekom Kolbam. Djelotvornost lijeka Kolbam za odobrene indikacije utvrđena je na temelju rezultata studije. To se poklapalo s kliničkim očekivanjima i podacima dostupnima iz literature.

Koji su rizici povezani s lijekom Kolbam?

Nuspojave lijeka Kolbam općenito su blage do umjerene ozbiljne i prolazne. Najčešće nuspojave lijeka (mogu se javiti u više od 1 na 10 osoba) su periferna neuropatija (oštećenje živaca u rukama i nogama), proljev, mučnina (osjećaj slabosti), refluks kiseline (vraćanje želučane kiseline u usta), ezofagitis (upala probavnog trakta), žutica (žuta boja kože i očiju), problemi s kožom (lezije) i malaksalost (osjećaj iscrpljenosti).

Kolbam se ne smije koristiti u kombinaciji s fenobarbitalom (lijekom za liječenje epilepsije).

Potpuni popis nuspojava i ograničenja potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Kolbam odobren?

Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) pri Agenciji odlučio je da koristi od lijeka Kolbam nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio njegovo odobrenje za korištenje u Europskoj uniji. CHMP je zaključio da Kolbam ima pozitivne učinke u bolesnika koji imaju deficijenciju sljedećih jetrenih enzima: sterol 27-hidroksilaze, 2- metilacil-KoA racemaze ili kolesterol 7- hidroksilaze. U pogledu sigurnosti ovog lijeka, nuspojave ne djeluju ozbiljne i reverzibilne su.

Kolbam je odobren u „iznimnim okolnostima“. Tome je razlog nemogućnost dobivanja potpunih informacija o lijeku Kolbam zbog rijetкости bolesti. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove dostupne informacije te se ovaj sažetak po potrebi ažurira.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Kolbam?

Budući da je lijek Kolbam odobren u iznimnim okolnostima, tvrtka koja lijek Kolbam stavlja u promet mora nadzirati koristi i sigurnu primjenu lijeka Kolbam s pomoću registra bolesnika te godišnje dostavljati ažurirane podatke.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Kolbam?

Pripremljen je plan upravljanja rizikom kako bi se osigurala što sigurnija primjena lijeka Kolbam. Na temelju tog plana, u sažetku opisa svojstava lijeka kao i u uputi o lijeku za lijek Kolbam nalaze se sigurnosne informacije, uključujući odgovarajuće mjere opreza kojih se zdravstveni djelatnici i bolesnici trebaju pridržavati.

Nadalje, tvrtka koja lijek Kolbam stavlja u promet mora dostaviti edukacijski materijal s informacijama o ispravnoj i sigurnoj primjeni lijeka Kolbam svim liječnicima za koje se očekuje da će propisivati ovaj lijek.

Dodatne informacije možete pronaći u [sažetku plana upravljanja rizikom](#)

Ostale informacije o lijeku Kolbam

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet koje je za lijek Rotarix na snazi u Europskoj uniji od 20. studenog 2015.

Cjeloviti EPAR kao i sažetak plana upravljanja rizikom za lijek Kolbam nalaze se na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Više informacija o terapiji lijekom Kolbam pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a), ili se obratite svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti za lijek Kolbam dostupan je na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Ovaj sažetak je posljednji put ažuriran u siječnju 2016.