



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Orphacol

kolna kiselina

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

Praktične informacije o korištenju lijeka Orphacol bolesnici trebaju pročitati u uputi o lijeku ili se obratiti svom liječniku ili ljekarniku.

Što je Orphacol i za što se koristi?

Orphacol je lijek koji sadrži kolnu kiselinu, tvar koja se nalazi u žuči i koja se koristi za probavljanje masnoća.

Koristi se za liječenje odraslih i djece u dobi od mjesec dana koja imaju genetički poremećaj koji ih sprječava da proizvode žuč. Orphacol se koristi kod bolesnika koji nemaju dovoljno dva specifična jetrena enzima (3β -hidroksi- Δ^5 -C₂₇-steroid oksidoreduktaze ili Δ^4 -3-oksosteroid-5 β -reduktaza). To čini njihovu jetru nesposobnom za produkciju dovoljne količine žuči zvanih primarne žučne kiseline poput kolne kiseline. Kad ove primarne žučne kiseline manjkaju, tijelo proizvodi nenormalne žučne kiseline koje mogu oštetiti jetru i uzrokovati po život opasno zatajenje jetre.

Budući da je broj bolesnika s urođenim pogreškama u sintezi primarnih žučnih kiselina, dotična se bolest smatra „rijetkom” te se Orphacol od 18. prosinca 2002. označava kao lijek za liječenje rijetkih i teških bolesti.

Kako se Orphacol koristi?

Lijek se može dobiti samo na recept i liječenje Orphacolum treba započeti i nadzirati liječnik specijaliziran za bolesti jetre.

Orphacol je dostupan u obliku kapsula i treba ga uzimati svaki dan u približno isto vrijeme, uz obrok. Dnevna doza je između 5 i 15 mg po kg tjelesne težine prilagođena za svakog bolesnika u skladu sa



stanjem njegove žučne kiseline s minimalnom dnevnom dozom od 50 mg i maksimalnom dozom od 500 mg. Za malu djecu koja ne mogu gutati kapsule, sadržaj se može promiješati s dječjom hranom ili sokom. Liječenje treba prekinuti ako se jetrena funkcija ne poboljša unutar tri mjeseca.

Kako djeluje Orphacol?

Kolna kiselina je glavna primarna žučna kiselina koju proizvodi jetra. Kolna kiselina u Orphacolu zamjenjuje kolnu kiselinu koja nedostaje bolesniku. To pomaže smanjivanju produkcije nenormalnih žučnih kiselina i pridonosi normalnoj aktivnosti žuči u probavnom sustavu olakšavajući tako simptome stanja.

Koje su koristi lijeka Orphacol dokazane u ispitivanjima?

S obzirom na to da je kolna kiselina dobro poznata tvar te je njezina upotreba u nedostacima ovih enzima dobro utvrđena, predlagatelj je prezentirao podatke iz znanstvene literature. Predlagatelj je predao podatke za 49 bolesnika s urođenim greškama u sintezi primarne žučne kiseline, dobivene iz znanstvene literature (38 bolesnika s manjkom 3β -hidroksi- Δ^5 -C₂₇-steroidne oksidoreduktaze i 11 bolesnika s manjkom Δ^4 -3-oksosteroid-5 β -reduktaze). Usporedio je ishode 28 bolesnika koji su primali kolnu kiselinu s drugima koji su primali različite žučne kiseline ili nisu bili liječeni žučnom kiselinom.

U znanstvenoj literaturi dokazano je da liječenje kolnom kiselinom smanjuje količinu nenormalnih žučnih kiselina u bolesnika kako bi se povratile normalne funkcije jetre i pomoglo odgoditi ili spriječiti potrebu za transplantacijom jetre.

Koji su rizici povezani s lijekom Orphacol?

Nuspojave uočene s Orphacolum bili su proljev, pruritus (svrbež), porast u razinama transaminaza (jetreni enzima) i mogućih žučnih kamenaca, iako se njihova učestalost ne može pouzdano procijeniti iz dostupnih ograničenih podataka.

Orphacol se ne smije koristiti kod osoba koje bi mogle biti preosjetljive (alergične) na kolnu kiselinu ili na bilo koji od sastojaka. Ne smiju ga uzimati bolesnici koji već uzimaju fenobarbital, lijek za liječenje epilepsije.

Zašto je Orphacol odobren?

Povjerenstvo za humane lijekove (CHMP) napomenulo je da je upotreba kolne kiseline za liječenje urođenih grešaka u sintezi primarne žučne kiseline dobro utvrđena u medicinskoj praksi i dokumentirana u znanstvenoj literaturi, iako je broj dokumentiranih slučajeva bio nizak zbog rijetkosti bolesti. Povjerenstvo je odlučilo da su na temelju dokaza iz znanstvene literature koristi lijeka Orphacol veće od njegovih rizika i preporučilo izdavanje odobrenja za stavljanje lijeka Orphacol u promet.

Orphacol je odobren pod „iznimnim okolnostima”. Razlog za navedeno je nemogućnost dobivanja potpunih informacija o Orphacolu zbog male učestalosti bolesti. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove dostupne informacije te se ovaj sažetak po potrebi obnavlja.

Koje se još informacije očekuju o lijeku Orphacol?

S obzirom da je Orphacol odobren pod iznimnim okolnostima, tvrtka koja trži Orphacol uspostaviti će bazu podataka bolesnika liječenih Orphacolum kako bi nadzirala sigurnost i djelotvornost terapije te će predati rezultate CHMP-u u redovitim, određenim intervalima.

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

Razvijen je plan upravljanja rizikom kako bi se osiguralo da se Orphacol koristi što je sigurnije moguće. Na temelju ovog plana sigurnosne informacije uključene su u Sažetak opisa svojstava lijeka i Uputu o lijeku za Orphacol uključujući i odgovarajuće mjere opreza kojih se trebaju pridržavati zdravstveni djelatnici i bolesnici.

Tvrtka koja proizvodi Orphacol također će snabdjeti liječnike u svim državama članicama koji će koristiti Orphacol s paketom koji sadrži literaturu o proizvodu i informacije u vezi ispravne dijagnoze ovih bolesti, rizika od nuspojava i kako ispravno koristiti lijek.

Druge informacije o lijeku Orphacol

Europska komisija izdaje odobrenje za stavljanje u promet koje za lijek Orphacol vrijedi na prostoru Europske unije od 12. rujna 2013.

Cjelovito Europsko javno izvješće o ocjeni dokumentacije o lijeku (EPAR) može se naći na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Više informacija o liječenju lijekom Orphacol pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) ili se obratite svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Povjerenstva za lijekove za rijetke i teške bolesti o lijeku Orphacol možete naći na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Sažetak je posljednji put obnovljen 09.2013.