



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100661/2016
EMA/H/C/002081

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Kolbam kólsav

Ez a dokumentum a Kolbam-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Kolbam alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Kolbam alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer a Kolbam és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Kolbam egy kólsav nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Ez egy „primer epesav”, amely az epe (a máj által termelt folyadék, amely elősegíti a zsírok emésztését) fő alkotóeleme.

A Kolbam-ot olyan felnőtteknél és legalább egy hónapos gyermekeknél engedélyezték élethosszig tartó kezelésre, akik bizonyos genetikai rendellenességek következtében nem képesek megfelelő mennyiségű primer epesavat, például kólsavat termelni, ami a következő májenzimek hiányát eredményezi: szterol-27-hidroxiláz, 2-metilacil-CoA-racemáz vagy koleszterin-7 α -hidroxiláz.

Ha hiányoznak a primer epesavak, a szervezet káros epesavakat termel helyettük, amelyek károsíthatják a májat, és életveszélyes májelégtelenséghez vezethetnek. A betegséget „a primer epesavsztézis veleszületett rendellenességeinek” nevezik.

Mivel a primer epesavsztézis veleszületett rendellenességeiben szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Kolbam-ot 2009. október 28-án „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették.



Hogyan kell alkalmazni a Kolbam-ot?

A Kolbam csak receptre kapható, és a kezelést kizárólag a Kolbam-mal kezelhető betegségekre szakosodott orvos kezdheti meg és felügyelheti.

A Kolbam kapszula (50 és 250 mg) formájában kapható. A kezelés során a napi adagot minden egyes beteg esetében a beteg vérében és vizeletében található epesavak szintjei és a májfunkció alapján választják ki és módosítják. A maximális napi adag nem haladhatja meg a 15 mg/ttkg-ot.

A Kolbam-ot minden nap hozzávetőleg azonos időpontban, étkezés közben kell bevenni. A kapszula lenyelésére képtelen kisgyermekes esetében a kapszula tartalma csecsemőtápszerbe, lefejt anyatejbe, burgonyapürébe vagy gyümölcspürébe keverhető.

További információ a betegtájékoztatóban található.

Hogyan fejtí ki hatását a Kolbam?

A kólsav a máj által termelt főbb primer epesavak közé tartozik. A Kolbam-ban található kólsav pótolja a beteg szervezetéből hiányzó kólsavat. Ez elősegíti a kóros epesavak termelődésének csökkenését, és hozzájárul az epe normális működéséhez az emésztőrendszerben, ezáltal enyhíti a betegség tüneteit.

Milyen előnyei voltak a Kolbam alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Kolbam-ot egy fő vizsgálatban tanulmányozták, amelybe 52, a primer epesavszintézis veleszületett rendellenességeiben szenvedő beteget vontak be, akik közül 7 beteg esetében a szterol-27-hidroxiláz, a 2-metilacil-CoA-racemáz vagy a koleszterin-7 α -hidroxiláz hiánya volt kimutatható. A fő hatékonysági mutató az epesavszintek és a májfunkció változása volt a Kolbam-kezelés előtt és után. A Kolbam hatásosságát az engedélyezett javallatokban ezen vizsgálat eredményei alapján állapították meg. Ez megfelelt a klinikai várakozásoknak és a szakirodalmi adatoknak.

Milyen kockázatokkal jár a Kolbam alkalmazása?

A Kolbam mellékhatásai általában enyhék vagy közepesen súlyosak, és átmeneti jellegűek. A leggyakoribb mellékhatások (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a perifériás neuropátia (idegkárosodás a kezekben és a lábokban), hasmenés, hányinger, savas reflux (a gyomorsav felöklendezése a szájba), nyelőcső-gyulladás, sárgaság (a bőr és a szemek besárgulása), bőrproblémák (elváltozások) és a rossz közérzet.

A Kolbam nem alkalmazható fenobarbitállal (epilepszia-gyógyszer) kombinációban.

Az összes mellékhatás és korlátozás teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Kolbam forgalomba hozatalát?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy a Kolbam alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását. A CHMP arra a következtetésre jutott, hogy a Kolbam előnyös hatásokkal rendelkezik a következő májenzimek hiányában szenvedő betegeknél: szterol-27-hidroxiláz, 2-metilacil-CoA-racemáz és koleszterin-7 α -hidroxiláz. A biztonságosságát illetően a mellékhatások nem bizonyultak súlyosnak, és visszafordíthatóak.

A Kolbam forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték. Ez azt jelenti, hogy a betegség alacsony előfordulási aránya miatt nem lehetett teljes körű információt gyűjteni a Kolbam-ról.

Az Európai Gyógyszerügynökség évente felülvizsgál minden újonnan hozzáférhető információt, és szükség esetén aktualizálja ezt az összefoglalót.

Milyen információk várhatók még a Kolbam-mal kapcsolatban?

Mivel a Kolbam forgalomba hozatalát kivételes körülmények között engedélyezték, a Kolbam-ot forgalmazó vállalat egy betegregiszter adatai alapján nyomon fogja követni a Kolbam előnyeit és biztonságosságát, és évente frissített jelentéseket fog benyújtani.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Kolbam biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Kolbam lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján a Kolbam-ra vonatkozó alkalmazási előírást és betegtájékoztatót a biztonságos alkalmazással kapcsolatos információkkal egészítették ki, ideértve az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket.

Ezenkívül a Kolbam-ot forgalmazó vállalat a Kolbam helyes és biztonságos alkalmazásával kapcsolatos oktatóanyagot fog biztosítani a készítményt várhatóan felíró orvosok részére.

További információ a [kockázatkezelési terv összefoglalójában](#) található.

A Kolbam-mal kapcsolatos egyéb információ

2015. november 20-án az Európai Bizottság a Kolbam-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Kolbam-ra vonatkozó teljes EPAR és kockázatkezelési terv összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Amennyiben a Kolbam-mal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Kolbam-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 02-2016.