



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100662/2016
EMA/H/C/002081

Riassunto destinato al pubblico

Kolbam

acido colico

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Kolbam. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Kolbam.

Per informazioni pratiche sull'uso di Kolbam i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Kolbam?

Kolbam è un medicinale contenente acido colico come principio attivo. L'acido colico è un "acido biliare primario", un componente principale della bile (un liquido prodotto dal fegato che favorisce la digestione dei grassi).

Kolbam è autorizzato per il trattamento a vita degli adulti e dei bambini di almeno un mese di età che non sono in grado di produrre sufficienti quantità di acidi biliari primari, come l'acido colico, a causa di specifiche anomalie genetiche che determinano una mancanza dei seguenti enzimi epatici: sterolo 27idrossilasi, 2-metilacil-CoA racemasi o colesterolo 7 α -idrossilasi.

Quando mancano gli acidi biliari primari, l'organismo produce acidi biliari anomali che possono danneggiare il fegato, con rischio di insorgenza di un'insufficienza epatica potenzialmente letale. Tali disturbi sono noti come "difetti congeniti della sintesi degli acidi biliari primari".

Poiché il numero di pazienti affetti da difetti congeniti della sintesi degli acidi biliari primari è basso, questa condizione è considerata "rara" e Kolbam è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 28 ottobre 2009.

Come si usa Kolbam?

Kolbam può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere iniziata e supervisionata da un medico specializzato nelle malattie trattate con 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 è disponibile in capsule (da 50 mg e 250 mg). La dose giornaliera viene decisa e aggiustata nel corso del trattamento in base ai livelli ematici (nel sangue) e urinari di acidi biliari e alla funzionalità epatica di ciascun paziente. La dose giornaliera massima non deve superare 15 mg per chilogrammo di peso corporeo.

Kolbam deve essere assunto ogni giorno approssimativamente alla stessa ora, in concomitanza di un pasto. Nel caso di bambini piccoli che non sono in grado di ingoiare le capsule, il contenuto può essere mescolato con alimenti per lattanti, latte materno estratto, purè di patate o purea di frutta.

Per maggiori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

Come agisce Kolbam?

L'acido colico è uno dei principali acidi biliari primari prodotti dal fegato. L'acido colico contenuto in Kolbam sostituisce l'acido colico mancante nell'organismo del paziente. In questo modo, contribuisce a ridurre la produzione di acidi biliari anomali e favorisce la normale attività della bile nel sistema digestivo, alleviando i sintomi del disturbo.

Quali benefici di Kolbam sono stati evidenziati negli studi?

Kolbam è stato esaminato nell'ambito di uno studio principale su 52 pazienti con difetti congeniti della sintesi degli acidi biliari primari, tra cui 7 pazienti con mancanza di sterolo 27-idrossilasi, 2 metilacilCoA racemasi o colesterolo 7 α -idrossilasi. I principali parametri di efficacia sono stati le variazioni dei livelli di acidi biliari e della funzionalità epatica prima e dopo il trattamento con Kolbam. L'efficacia di Kolbam per le indicazioni autorizzate è stata stabilita in base ai risultati di questo studio. Tali risultati erano in linea con le aspettative cliniche e con i dati della letteratura medica.

Quali sono i rischi associati a Kolbam?

Gli effetti indesiderati di Kolbam sono in genere di gravità da lieve a moderata e di natura transitoria. Gli effetti indesiderati più comuni (che possono riguardare fino a 1 persona su 10) sono neuropatia periferica (danni ai nervi di mani e piedi), diarrea, nausea, reflusso acido (reflusso degli acidi gastrici nel cavo orale), esofagite (infiammazione dell'esofago), ittero (colorazione gialla della cute e degli occhi), problemi cutanei (lesioni) e malessere.

Kolbam non deve essere usato in combinazione con fenobarbitale (un medicinale per il trattamento dell'epilessia).

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati e delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché Kolbam è approvato?

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che i benefici di Kolbam sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE. Il CHMP ha concluso che Kolbam ha effetti benefici nei pazienti con deficit dei seguenti enzimi epatici: sterolo 27-idrossilasi, 2 metilacilCoA racemasi e colesterolo 7 α -idrossilasi. Quanto alla sicurezza, gli effetti indesiderati sono sembrati non gravi e reversibili.

Kolbam è stato autorizzato in "circostanze eccezionali", perché non è stato possibile ottenere informazioni complete sul medicinale a causa della rarità della malattia. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni eventualmente disponibili e, se necessario, questo riassunto sarà aggiornato.

Quali informazioni sono ancora attese per Kolbam?

Poiché Kolbam è stato autorizzato in circostanze eccezionali, la ditta che commercializza Kolbam monitorerà i benefici e la sicurezza del medicinale sulla base di un registro dei pazienti e fornirà aggiornamenti annuali.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Kolbam?

È stato elaborato un piano di gestione dei rischi per garantire che Kolbam sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di Kolbam sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

Inoltre, la ditta che commercializza Kolbam fornirà materiale educativo contenente informazioni sull'uso corretto e sicuro del medicinale a tutti i medici destinati a prescriberlo.

Ulteriori informazioni sono disponibili nel [riassunto del piano di gestione dei rischi](#)

Altre informazioni su Kolbam

Il 20 novembre 2015 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Kolbam, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR e del riassunto del piano di gestione dei rischi di Kolbam consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports) Per maggiori informazioni sulla terapia con Kolbam, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Kolbam è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 02-2016.