EMA/241528/2017
EMEA/H/C/004061

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Chenodeoxycholic acid Leadiant[1]

Chenodeoksicholio rūgštis

Šis dokumentas yra Chenodeoxycholic acid Leadiant Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatytų jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Chenodeoxycholic acid Leadiant.

Praktinės informacijos apie Chenodeoxycholic acid Leadiant vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

Kas yra Chenodeoxycholic acid Leadiant ir kam jis vartojamas?

Chenodeoxycholic acid Leadiant – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos chenodeoksicholio rūgšties. Tai vadinamoji pirminė tulžies rūgštis, kuri yra pagrindinė tulžies (kepenyse gaminamo skysčio, kuris padeda virškinti riebalus) sudedamoji dalis.

Chenodeoxycholic acid Leadiant gydomi cerebrotendine ksantomatoze sergantys suaugusieji ir ne jaunesni nei mėnesio vaikai. Dėl genetinių patologijų, kurios lemia kepenų fermento sterol 27-hidoksilazės trūkumą, šių pacientų organizme pagaminama nepakankamai pirminės tulžies rūgšties chenodeoksicholio rūgšties. Esant pirminių tulžies rūgščių trūkumui, vietoj jų organizme gaminamos pakitusios tulžies rūgštys ir kitos medžiagos, kurios kaupiasi visame organizme ir taip jam kenkia.

Kadangi šia liga sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta, 2014 m. gruodžio 16 d. Chenodeoxycholic acid Leadiant buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

[1] Ankstesnis pavadinimas – Chenodeoxycholic acid sigma-tau.

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

© European Medicines Agency, 2017. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Chenodeoxycholic acid Leadiant yra hibridinis vaistas. Tai reiškia, kad jis panašus į referencinį vaistinį preparatą, kurio sudėtyje yra tos pačios veikliosios medžiagos. Chenodeoxycholic acid Leadiant referencinis vaistinis preparatas yra Xenbilox. Tačiau Xenbilox skiriasi nuo Chenodeoxycholic acid Leadiant tuo, kad jis įregistruotas pagal kitokią vartojimo indikaciją (t. y. jis skirtas tirpinti cholesterolinius tulžies akmenis).

Kaip vartoti Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Chenodeoxycholic acid Leadiant galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą šiuo vaistu turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis cerebrotendinės ksantomatozės ar kitų su pirminių tulžies rūgščių gamyba susijusių ligų gydymo patirties.

Gaminamos Chenodeoxycholic acid Leadiant kapsulės (250 mg), kurias reikia vartoti 3 kartus per parą, maždaug tuo pačiu paros metu. Kiekvienam pacientui vaisto paros dozė parenkama ir koreguojama gydymo laikotarpiu, atsižvelgiant į paciento amžių, kepenų veiklą ir tulžies rūgščių kiekį kraujyje ir šlapime. Mažiems vaikams ir vaikams, kurie negali nuryti kapsulių, kapsulių turinį galima sumaišyti su natrio bikarbonato 8,4 proc. tirpalu, kad vaistas būtų skysčio formos.

Daugiau informacijos pateikta pakuotės lapelyje.

Kaip veikia Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Chenodeoksicholio rūgštis yra viena iš pagrindinių kepenyse gaminamų pirminių tulžies rūgščių. Šio vaisto sudėtyje esančia chenodeoksicholio rūgštimi pakeičiama paciento organizme trūkstama chenodeoksicholio rūgštis. Tai padeda sumažinti pakitusių medžiagų gamybą ir normalizuoti tulžies veiklą virškinimo sistemoje, todėl ligos sukeliami simptomai palengvėja.

Kokia Chenodeoxycholic acid Leadiant nauda nustatyta tyrimuose?

Chenodeoxycholic acid Leadiant buvo tiriamas tyrime, kurio metu buvo analizuojami 35 cerebrotendine ksantomatoze sergančių pacientų, kurie chenodeoksicholio rūgštį vartojo maždaug 9 metus, duomenys. Visiems 23 pacientams, kurių duomenys apie tulžies rūgščių kiekį kraujyje buvo surinkti, tulžies rūgščių kiekis kraujyje sumažėjo (vidutiniškai 56–69 µmol/l). Iš 14 pacientų, kurių duomenys apie tulžies rūgščių kiekį šlapime buvo surinkti, po paskutinio tyrimo 79 proc. (11 iš 14) pacientų tulžies rūgščių kiekis šlapime buvo sumažėjęs. Be to, daugumai pacientų palengvėjo ligos sukeliami simptomai: visi pacientai nurodė, kad sumažėjo viduriavimas, 89 proc. pacientų nustatyti pagerėję protiniai gebėjimai, padidėjo 60 proc. pacientų judrumas, taip pat pagerėjo 85 ir 77 proc. pacientų psichikos būklės vertinimas pagal dvi skirtingas vertinimo skales.

Kokia rizika siejama su Chenodeoxycholic acid Leadiant vartojimu?

Chenodeoxycholic acid Leadiant sukeliami šalutiniai reiškiniai – tai vidurių užkietėjimas ir kepenų veiklos rodiklių nukrypimai nuo normos, tačiau remiantis turimais negausiais duomenimis, jų dažnio nepavyko patikimai įvertinti. Šie šalutiniai reiškiniai buvo lengvi arba vidutinio sunkumo ir trumpalaikiai.

Išsamų visų apribojimų sąrašą rasite pakuotės lapelyje.

Kodėl Chenodeoxycholic acid Leadiant buvo patvirtintas?

Chenodeoksicholio rūgštimi cerebrotendinė ksantomatozė gydoma maždaug 40 metų, nors ji nebuvo įregistruota pagal šią indikaciją. Tačiau dėl ligos retumo duomenų apie šio vaisto vartojimą vis dar nėra

daug. Vis dėlto tyrimais įrodyta, kad šis vaistas pacientams naudingas ir nesukelia stipraus šalutinio poveikio. Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) nusprendė, kad Chenodeoxycholic acid Leadiant nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Chenodeoxycholic acid Leadiant registruotas išimtinėmis sąlygomis, nes dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie šį vaistą. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią santrauką.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Chenodeoxycholic acid Leadiant?

Kadangi Chenodeoxycholic acid Leadiant registruotas išimtinėmis sąlygomis, šiuo vaistu prekiaujanti bendrovė turės sukurti registrą, kad galėtų vykdyti šio vaisto naudos ir saugumo stebėseną.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Chenodeoxycholic acid Leadiant vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Chenodeoxycholic acid Leadiant vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kita informacija apie Chenodeoxycholic acid Leadiant

Europos Komisija 2017 m. balandžio 10 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Chenodeoxycholic acid sigma-tau registracijos pažymėjimą. Vaisto pavadinimas pakeistas į Chenodeoxycholic acid Leadiant 2017 m. gegužės 12 d.

Išsamų Chenodeoxycholic acid Leadiant EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Daugiau informacijos apie gydymą Chenodeoxycholic acid Leadiant rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Chenodeoxycholic acid Leadiant santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2017-06.