



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100663/2016  
EMA/H/C/002081

## EPAR santrauka plačiamajam visuomeniui

---

### Kolbam

cholio rūgštis

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

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

### Kas yra Kolbam ir kam jis vartojamas?

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

Kolbam skiriamas taikant visą gyvenimą trunkantį gydymą suaugusiems ir vyresniems kaip mėnesio vaikams, kurių organizme – dėl genetinės patologijos, kuri lemia kepenų fermentų sterol 27-hidroksilazės, 2-metilacil-CoA racemazės ar cholesterol 7 $\alpha$ -hidroksilazės trūkumą, – gaminama nepakankamai pirminių tulžies rūgščių, tokių kaip cholio rūgštis.

Esant šių pirminių tulžies rūgščių trūkumui, organizme gaminamos anomalios tulžies rūgštys, kurios gali pažeisti kepenis, ir dėl to pacientui gali išsivystyti gyvybei pavojingas kepenų nepakankamumas. Ši liga vadinama įgimtais pirminių tulžies rūgščių sintezės sutrikimais.

Kadangi įgimtų pirminės tulžies rūgštis sintezės sutrikimų turinčių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta, ir 2009 m. spalio 28 d. Kolbam buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

### Kaip vartoti Kolbam?

Kolbam galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, kuris yra šiuo vaistu gydomų ligų specialistas.



Kolbam tiekiamas kapsulių (50 ir 250 mg) forma. Paros dozė parenkama ir koreguojama gydymo laikotarpiu atsižvelgiant į tulžies rūgščių kiekį kiekvieno paciento kraujyje ir šlapime bei pacientų kepenų veiklą. Didžiausia paros dozė negali viršyti 15 mg/kg kūno svorio.

Kolbam reikia vartoti kasdien maždaug tuo pačiu paros metu su maistu. Mažiems vaikams, kurie negali nuryti kapsulių, kapsulių turinį reikia sumaišyti su kūdikių pieno mišiniu, nutrauktu motinos pienu, bulvių koše arba vaisių tyrele.

Daugiau informacijos galima rasti pakuotės lapelyje.

## **Kaip veikia Kolbam?**

Cholio rūgštis yra viena iš pagrindinių kepenyse gaminamų pirminių tulžies rūgščių. Kolbam sudėtyje esančia cholio rūgštimi pakeičiama paciento organizme trūkstanti cholio rūgštis. Tai padeda sumažinti anomalių tulžies rūgščių gamybą ir padeda normalizuoti tulžies veiklą virškinimo sistemoje, todėl ligos sukelti simptomai palengvėja.

## **Kokia Kolbam nauda nustatyta tyrimuose?**

Kolbam buvo tiriamas atliekant vieną pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 52 pacientai, turintys įgimtą pirminės tulžies rūgšties sintezės sutrikimą, įskaitant 7 pacientus, kurių organizme trūko sterol 27-hidroksilazės, 2-metilacil-CoA racemazės arba cholesterol 7 $\alpha$ -hidroksilazės. Pagrindiniai veiksmingumo rodikliai buvo tulžies rūgščių kiekio ir kepenų veiklos pokyčiai prieš ir po gydymo Kolbam. Kolbam veiksmingumas vartojant jį pagal patvirtintas indikacijas buvo patvirtintas remiantis šio tyrimo rezultatais. Šie rezultatai atitiko numatytus klinikinių tyrimų rezultatus ir literatūroje publikuotus duomenis.

## **Kokia rizika siejama su Kolbam vartojimu?**

Paprastai Kolbam šalutinis poveikis yra lengvas arba vidutinio sunkumo ir yra trumpalaikis. Dažniausi šalutiniai reiškiniai (galintys pasireikšti ne daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra periferinė neuropatija (plaštakų ir pėdų nervų pažeidimas), viduriavimas, pykinimas (šleikštulys), rūgšties refluksas (kai skrandžio sultys pakyla iki burnos), ezofagitas (stemplės uždegimas), gelta (odos ir akių pageltimas), odos sutrikimai (opos) ir negalavimas (prasta savijauta).

Kolbam negalima vartoti kartu su fenobarbitaliu (vaistu nuo epilepsijos).

Išsamų visų šalutinių reiškinų ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

## **Kodėl Kolbam buvo patvirtintas?**

Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) nusprendė, kad Kolbam nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES. CHMP priėjo prie išvados, kad Kolbam daro naudingą poveikį pacientams, kuriems trūksta šių kepenų fermentų: sterol 27-hidroksilazės, 2-metilacil-CoA racemazės ir cholesterol 7 $\alpha$ -hidroksilazės. Dėl Kolbam saugumo nuspręsta, kad šio vaisto sukelti šalutiniai reiškiniai nėra sunkūs ir nesukelia negrįžtamų pokyčių.

Kolbam rinkodaros leidimas suteiktas išimtinėmis sąlygomis, nes dėl ligos retumo nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie Kolbam. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią santrauką.

## **Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Kolbam?**

Kadangi Kolbam rinkodaros leidimas suteiktas išimtinėmis sąlygomis, Kolbam platinanti bendrovė turės stebėti Kolbam naudą ir saugumą remdamasi pacientų registro duomenimis ir kasmet pateikti atnaujintą informaciją.

## **Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Kolbam vartojimą?**

Siekiant užtikrinti kuo saugesnį Kolbam vartojimą, parengtas rizikos valdymo planas. Remiantis šiuo planu, į Kolbam preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtraukta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant atsargumo priemones, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Be to, Kolbam platinanti bendrovė visiems gydytojams, kurie turėtų šiuo vaistu gydyti savo pacientus, pateiks šviečiamąją medžiagą su informacija apie tinkamą ir saugų šio vaisto vartojimą.

Išsamesnę informaciją galima rasti [rizikos valdymo plano santraukoje](#).

## **Kita informacija apie Kolbam**

Europos Komisija 2015 m. lapkričio 20 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Kolbam rinkodaros leidimą.

Išsamų Kolbam EPAR ir rizikos valdymo plano santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Daugiau informacijos apie gydymą Kolbam rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Kolbam santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2016-02.