



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Orphacol

holskābe

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Orphacol*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra novērtēja šīs zāles, pirms ieteikt tās reģistrēt ES un sniegt ieteikumus par *Orphacol* lietošanu. Tas nav paredzēts kā praktiski ieteikumi par *Orphacol* lietošanu.

Lai iegūtu praktisku informāciju par *Orphacol* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsazinās ar ārstu vai farmaceitu.

Kas ir *Orphacol* un kāpēc tās lieto?

Orphacol ir zāles, kas satur holskābi, žultī esošu vielu, kas tiek izmantota tauku gremošanai.

Tās lieto, lai ārstētu pieaugušos un bērnus no viena mēneša vecuma, kuriem ir ģenētiska patoloģija, kuras dēļ viņi nespēj sintezēt žulti. *Orphacol* lieto pacientiem, kuriem nav pietiekami daudz divu specifisku aknu enzīmu (3β -hidroksi- Δ^5 -C₂₇-steroīdoksīdoreduktāzes vai Δ^4 -3-oksosteroīd-5 β -reduktāzes). Tas padara viņu aknas nespējīgas sintezēt pietiekami daudz galveno žults sastāvdaļu, ko dēvē par primārajām žultsskābēm, piemēram, holskābi. Ja trūkst šo primāro žultsskābju, to vietā organismā tiek sintezētas patoloģiskas žultsskābes, kas var izraisīt aknu bojājumu, kā rezultātā var iestāties dzīvībai bīstama aknu mazspēja.

Tā kā pacientu, kuriem ir iedzimtas primārās žultsskābes sintēzes traucējumi, skaits ir mazs un šo slimību uzskata par retu, 2002. gada 18. decembrī *Orphacol* tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Kā lieto *Orphacol*?

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ar *Orphacol* jāsāk un jāuzrauga ārstam, kurš ir specializējies aknu slimību ārstēšanā.



Orphacol ir pieejams kapsulu veidā, un tās jālieto katru dienu aptuveni vienā un tajā pašā laikā kopā ar maltīti. Dienas deva ir 5–15 mg uz kg ķermeņa masas, pielāgojot katram pacientam atbilstoši viņa žultsskābju sekrēcijai. Minimālā dienas deva ir 50 mg, maksimālā — 500 mg. Maziem bērniem, kuri nevar norīt kapsulas, to saturu var sajaukt ar mākslīgo piena maisījumu vai sulu. Ja aknu darbība trīs mēnešu laikā neuzlabojas, ārstēšana ir jāpārtrauc.

Kā *Orphacol* darbojas?

Holskābe ir galvenā aknās sintezētā primārā žultsskābe. *Orphacol* sastāvā esošā holskābe aizstāj pacientam trūkstošo holskābi. Tas palīdz mazināt patoloģisku žultsskābju sintēzi un veicina normālu žults darbību gremošanas sistēmā, tādējādi mazinot šā traucējuma simptomus.

Kādas bija *Orphacol* lietošanas priekšrocības šajos pētījumos?

Tā kā holskābe ir labi zināma viela un tās lietošana šo enzīmu deficīta gadījumā ir labi pierādīta, pieteikuma iesniedzējs iesniedza literatūrā pieejamos datus. Pieteikuma iesniedzējs iesniedza datus par 49 pacientiem ar iedzimtiem primārās žultsskābes sintēzes traucējumiem, kas ņemti no zinātniskās literatūrās (38 pacienti ar 3β -hidroksi- Δ^5 -C₂₇-steroidoksīdoreduktāzes deficītu un 11 pacienti ar Δ^4 -3-oksoesteroīd-5 β -reduktāzes deficītu). Šajos datos salīdzināts ārstēšanas rezultāts 28 pacientiem, kuri saņēma holskābi, ar citiem, kuriem lietoja atšķirīgas žultsskābes vai kuriem neveica ārstēšanu ar žultsskābēm.

Zinātniskajā literatūrā pierādīts, ka ārstēšana ar holskābi mazina patoloģisko žultsskābju daudzumu pacientiem, atjauno aknu normālās funkcijas un palīdz aizkavēt vai novērst nepieciešamību veikt aknu transplantāciju.

Kāds risks pastāv, lietojot *Orphacol*?

Novērotās *Orphacol* blakusparādības bija caureja, prurīts (nieze), transamināžu (aknu enzīmu) līmeņa paaugstināšanās un, iespējams, žultsakmeņi, lai gan, izmantojot pieejamos ierobežotos datus, to biežumu nav iespējams droši izvērtēt.

Orphacol nedrīkst lietot cilvēki ar paaugstinātu jutību (alerģiju) pret holskābi vai kādu citu šo zāļu sastāvdaļu. Šīs zāles nedrīkst lietot pacienti, kuri jau lieto fenobarbitālu kā zāles epilepsijas ārstēšanai.

Kāpēc *Orphacol* tika apstiprinātas?

Aģentūras Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) ņēma vērā, ka holskābes lietošana iedzimtu primārās žultsskābes sintēzes traucējumu ārstēšanai medicīnas praksē ir labi pierādīta un dokumentēta zinātniskā literatūrā, lai gan dokumentēto gadījumu skaits slimības retuma dēļ bija neliels. Komiteja nolēma, ka, pamatojoties uz zinātniskajā literatūrā publicētajiem pierādījumiem, *Orphacol* ieguvumi ir lielāki nekā radītais risks un ieteica šīm zālēm izsniegt reģistrācijas apliecību.

Orphacol ir reģistrētas “izņēmuma kārtā”. Tas nozīmē, ka sakarā ar šīs slimības retumu nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par *Orphacol*. Eiropas Zāļu aģentūra ik gadu pārbauda visu jauniegūto informāciju un vajadzības gadījumā atjaunina šo kopsavilkumu.

Kāda informācija par *Orphacol* vēl ir sagaidāma?

Tā kā *Orphacol* ir piemērota reģistrācija ar nosacījumiem, uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Orphacol*, izveidos ar *Orphacol* ārstēto pacientu datubāzi, lai uzraudzītu ārstēšanas drošumu un efektivitāti, kā arī regulāri, ar noteiktiem starplaikiem iesniegs rezultātus CHMP.

Kas tiek darīts, lai nodrošinātu nekaitīgu *Orphacol* lietošanu?

Lai nodrošinātu iespējami nekaitīgu *Orphacol* lietošanu, ir izstrādāts riska pārvaldības plāns. Pamatojoties uz šo plānu, *Orphacol* zāļu aprakstā ir ietverta drošuma informācija, kā arī lietošanas instrukcija, tostarp attiecīgi piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem.

Uzņēmums, kas ražo *Orphacol*, visu dalībvalstu ārstiem, kuri lieto *Orphacol*, nodrošinās paketi, kurā iekļauta literatūra par šīm zālēm un informācija par pareizu šo traucējumu diagnosticēšanu, blakusparādību risku un zāļu pareizu lietošanu.

Cita informācija par *Orphacol*

Eiropas Komisija 2013. gada 12. septembrī izsniedza *Orphacol* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Orphacol* EPAR teksts ir pieejams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Orphacol* atrodama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Orphacol* ir pieejams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 09.2013.