



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100666/2016
EMA/H/C/002081

EPAR-samenvatting voor het publiek

Kolbam

cholzuur

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Kolbam. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Kolbam.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Kolbam.

Wat is Kolbam en wanneer wordt het voorgeschreven?

Kolbam is een geneesmiddel dat de werkzame stof cholzuur bevat. Dit is een 'primaire galzuur', een hoofdbestanddeel van de gal (een vloeistof die door de lever wordt aangemaakt en helpt bij de vertering van vetten).

Kolbam is goedgekeurd voor de levenslange behandeling van volwassenen en kinderen vanaf één maand oud die niet voldoende primaire galzuren zoals cholzuur kunnen aanmaken als gevolg van bepaalde genetische afwijkingen, wat leidt tot een tekort aan de leverenzymen sterol 27-hydroxylase; 2-methylacyl-CoA-racemase of cholesterol 7 α -hydroxylase.

Bij een tekort aan primaire galzuren maakt het lichaam in plaats daarvan abnormale galzuren aan die de lever kunnen beschadigen, wat mogelijk leidt tot levensbedreigend leverfalen. De aandoening staat bekend als 'aangeboren defecten in de primaire galzuursynthese'.

Aangezien het aantal patiënten met deze aangeboren defecten klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Kolbam op 28 oktober 2009 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).



Hoe wordt Kolbam gebruikt?

Kolbam is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden ingeleid door en onder toezicht staan van een arts die gespecialiseerd is in de ziekten die met Kolbam kunnen worden behandeld.

Kolbam is verkrijgbaar in de vorm van capsules (50 en 250 mg). De dagelijkse dosis wordt per patiënt vastgesteld en tijdens de behandeling aangepast op basis van de galzuurconcentraties in bloed en urine en de leverfunctie van de patiënt. De maximale dagelijkse dosis mag niet hoger zijn dan 15 mg per kilogram lichaamsgewicht.

Kolbam moet elke dag op ongeveer hetzelfde tijdstip bij een maaltijd worden ingenomen. Voor kleine kinderen die geen capsules kunnen slikken, kan de inhoud worden vermengd met flesvoeding voor zuigelingen, afgekolfde moedermelk, aardappelpuree of vruchtenmoes.

Zie de bijsluiter voor meer informatie.

Hoe werkt Kolbam?

Cholzuur is een van de belangrijkste primaire galzuren die door de lever worden aangemaakt. Het cholzuur in Kolbam vult het tekort aan cholzuur bij de patiënt aan. Dit helpt de aanmaak van abnormale galzuren te verminderen en draagt bij aan de normale activiteit van gal in het spijsverteringsstelsel, waardoor de symptomen van de aandoening worden verminderd.

Welke voordelen bleek Kolbam tijdens de studies te hebben?

Kolbam werd onderzocht in één hoofdstudie onder 52 patiënten met aangeboren defecten in de primaire galzuursynthese, onder wie zeven patiënten met een tekort aan sterol 27-hydroxylase, 2-methylacyl-CoA-racemase of cholesterol 7 α -hydroxylase. De voornaamste graadmeters voor de werkzaamheid waren veranderingen in galzuurconcentraties en leverfunctie voor en na behandeling met Kolbam. De werkzaamheid van Kolbam voor de goedgekeurde indicaties werd vastgesteld op basis van de resultaten van deze studie. Dit kwam overeen met de klinische verwachtingen en literatuurgegevens.

Welke risico's houdt het gebruik van Kolbam in?

De bijwerkingen van Kolbam zijn doorgaans licht tot matig van ernst en van voorbijgaande aard. De meest voorkomende bijwerkingen (die bij maximaal 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn perifere neuropathie (schade aan de zenuwen in handen en voeten), diarree, misselijkheid, zuurreflux (omhoog stromen van maagzuur tot in de mond), oesofagitis (ontsteking van de slokdarm), geelzucht (gele verkleuring van huid en ogen), huidproblemen (beschadigingen) en malaise (gevoel van onwel zijn).

Kolbam mag niet worden gebruikt in combinatie met fenobarbital (een geneesmiddel bij epilepsie).

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen en beperkende voorwaarden.

Waarom is Kolbam goedgekeurd?

Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Kolbam groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd dit middel voor gebruik in de EU goed te keuren. Het CHMP heeft geconcludeerd dat Kolbam heilzame effecten heeft bij patiënten met tekorten in de volgende leverenzymen: sterol 27-hydroxylase, 2-methylacyl-CoA-racemase en cholesterol 7 α -hydroxylase. Wat de veiligheid van het middel betreft, bleken de bijwerkingen niet ernstig en omkeerbaar.

Kolbam is goedgekeurd 'onder uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Kolbam te verkrijgen. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Kolbam?

Aangezien aan Kolbam goedkeuring onder uitzonderlijke omstandigheden is verleend, zal het bedrijf dat Kolbam in de handel brengt op basis van een patiëntenregister de voordelen en de veiligheid van Kolbam controleren en jaarlijkse updates verstrekken.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Kolbam te waarborgen?

Om een zo veilig mogelijk gebruik van Kolbam te waarborgen, is een risicobeheerplan opgesteld. Op basis van dit plan is in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter van Kolbam veiligheidsinformatie opgenomen, onder andere over de gepaste voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen.

Bovendien zal het bedrijf dat Kolbam in de handel brengt, alle artsen die naar verwachting dit geneesmiddel gaan voorschrijven, voorzien van voorlichtingsmateriaal met informatie over het juiste en veilige gebruik van Kolbam.

Meer informatie is te vinden in de [samenvatting van het risicobeheerplan](#)

Overige informatie over Kolbam

De Europese Commissie heeft op 20 november 2015 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Kolbam verleend.

Het volledige EPAR en de samenvatting van het risicobeheerplan voor Kolbam zijn te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Kolbam.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Kolbam is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 02-2016.