



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100667/2016
EMA/H/C/002081

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Kolbam kwas cholowy

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Kolbam. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania produktu Kolbam.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Kolbam należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest produkt Kolbam i w jakim celu się go stosuje?

Kolbam jest lekiem zawierającym substancję czynną – kwas cholowy. Jest to „pierwotny kwas żółciowy”, który jest głównym składnikiem żółci (wytwarzany przez wątrobę płyn, który pomaga trawić tłuszcze).

Kolbam jest zatwierdzony do leczenia przez całe życie u dorosłych i dzieci od pierwszego miesiąca życia, których organizmy nie są w stanie wytwarzać wystarczającej ilości pierwotnych kwasów żółciowych, takich jak kwas cholowy, ze względu na pewne zaburzenia genetyczne, które powodują niedobór następujących enzymów wątrobowych: 27-hydroksylaza sterolowa; racemaza 2-metyloacylo-CoA lub 7 α -hydroksylaza cholesterolu.

W przypadku niedoboru pierwotnych kwasów żółciowych organizm wytwarza zamiast nich nieprawidłowe kwasy żółciowe, które mogą powodować uszkodzenie wątroby potencjalnie prowadzące do zagrażającej życiu niewydolności wątroby. Schorzenie to jest znane jako „wrodzone nieprawidłowości syntezy pierwotnych kwasów żółciowych”.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z wrodzonymi nieprawidłowościami syntezy pierwotnych kwasów żółciowych choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 28 października 2009 r. produkt Kolbam uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).



Jak stosować produkt Kolbam?

Kolbam wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu chorób, które leczy się za pomocą leku Kolbam.

Kolbam jest dostępny w postaci kapsułek (50 mg i 250 mg). Dawkę dobową dobiera się i dostosowuje w trakcie leczenia dla każdego pacjenta zależnie od stężenia kwasów żółciowych we krwi i moczu pacjenta oraz czynności jego wątroby. Maksymalna dawka dobową nie powinna przekraczać 15 mg na kilogram masy ciała.

Kolbam powinien być przyjmowany codziennie w przybliżeniu o tej samej porze dnia z posiłkiem. W przypadku małych dzieci, które nie potrafią połykać kapsułek, zawartość można wymieszać z odżywką dla niemowląt, odciągniętym pokarmem, rozartymi ziemniakami lub puree owocowym.

Szczegółowe informacje znajdują się w ulotce dla pacjenta.

Jak działa produkt Kolbam?

Kwas cholowy to jeden z głównych podstawowych kwasów żółciowych wytwarzanych przez wątrobę. Kwas cholowy zawarty w leku Kolbam zastępuje brakujący kwas cholowy pacjenta. Pomaga to ograniczyć wytwarzanie nieprawidłowych kwasów żółciowych i przyczynia się do prawidłowej aktywności żółci w układzie trawiennym, łagodząc w ten sposób objawy choroby.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Kolbam zaobserwowano w badaniach?

Kolbam badano w jednym badaniu głównym z udziałem 52 pacjentów z wrodzonymi nieprawidłowościami syntezy pierwotnych kwasów żółciowych, w tym 7 pacjentów z niedoborem 27-hydroksylazy sterolowej, racemazy 2-metyloacylo-CoA lub 7 α -hydroksylazy cholesterolu. Głównym kryterium oceny skuteczności były zmiany stężeń kwasów żółciowych i czynności wątroby przed leczeniem i po leczeniu lekiem Kolbam. Skuteczność produktu Kolbam w zatwierdzonym wskazaniu ustalono na podstawie wyników ww. badania. Było to zgodne z oczekiwaniami klinicznymi i danymi z piśmiennictwa.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Kolbam?

Działania niepożądane związane z lekiem Kolbam miały ogólnie nasilenie łagodne do umiarkowanego i były przemijające. Najczęstsze działania niepożądane (mogące wystąpić u więcej niż 1 osoby na 10) to: neuropatia obwodowa (uszkodzenie nerwów w dłoniach i stopach), biegunka, nudności (mdłości), kwaśne odbijanie (cofanie się kwasu żołądkowego do ust), zapalenie przełyku, żółtaczką (żółknięcie skóry i oczu), problemy ze skórą (zmiany) i złe samopoczucie.

Leku Kolbam nie wolno stosować w skojarzeniu z fenobarbitem (lek na padaczkę).

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Kolbam?

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji uznał, że korzyści ze stosowania produktu Kolbam przewyższają ryzyko, i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE. CHMP stwierdził, że Kolbam ma korzystne działanie u pacjentów z niedoborami następujących enzymów wątrobowych: 27-hydroksylaza sterolowa, racemaza 2-metyloacylo-CoA i 7 α -hydroksylaza

cholesterolu. Pod względem bezpieczeństwa stosowania działania niepożądane wydają się mieć przebieg nieciężki i odwracalny.

Kolbam dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Kolbam z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych informacji i w razie potrzeby uaktualni niniejsze sprawozdanie.

Jakich informacji brakuje jeszcze na temat produktu Kolbam?

W związku z tym, że produkt Kolbam został dopuszczony do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca produkt Kolbam do obrotu będzie monitorować korzyści i bezpieczeństwo stosowania produktu Kolbam na podstawie rejestru pacjentów i będzie dostarczać coroczne aktualizacje.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Kolbam?

W celu zapewnienia możliwie najbezpieczniejszego stosowania produktu Kolbam opracowano plan zarządzania ryzykiem. W oparciu o ten plan w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta dotyczących produktu Kolbam zawarto informacje dotyczące bezpieczeństwa, w tym odpowiednie środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów.

Dodatkowo firma wprowadzająca produkt Kolbam do obrotu zapewni materiały edukacyjne zawierające informacje na temat prawidłowego i bezpiecznego stosowania produktu Kolbam dla wszystkich lekarzy, którzy mogą przepisywać ten lek.

Więcej informacji znajduje się w [streszczeniu planu zarządzania ryzykiem](#).

Inne informacje dotyczące produktu Kolbam:

W dniu 20 listopada 2015 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Kolbam do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR i streszczenie planu zarządzania ryzykiem dotyczące produktu Kolbam znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Kolbam należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Kolbam znajduje się na stronie internetowej Agencji: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation

Data ostatniej aktualizacji: 02.2016.