

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

## Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

---

# Orphacol

## kwas cholowy

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

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

## Co to jest lek Orphacol i w jakim celu się go stosuje?

Produkt Orphacol to lek zawierający kwas cholowy – substancję występującą w żółci, która uczestniczy w trawieniu tłuszczów.

Produkt ten stosuje się w leczeniu osób dorosłych i dzieci w wieku powyżej jednego miesiąca, u których występuje nieprawidłowość genetyczna polegająca na tym, że nie produkują żółci. Lek Orphacol jest stosowany u pacjentów, którzy nie posiadają wystarczającej ilości dwóch enzymów wątrobowych (oksydoreduktazy  $3\beta$ -hydroksy- $\Delta^5$ -C<sub>27</sub>-steroidowej lub  $5\beta$ -reduktazy  $\Delta^4$ -3-oksosteroidowej). Niedobór tych enzymów sprawia, że wątroba nie może produkować wystarczającej ilości głównych składników żółci nazywanych pierwotnymi kwasami żółciowymi, np. kwasu cholowego. Przy niedostatecznej ilości pierwotnych kwasów żółciowych organizm produkuje nieprawidłowe kwasy żółciowe, które mogą uszkadzać wątrobę, potencjalnie prowadząc do zagrażającej życiu niewydolności tego narządu.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z wrodzonymi nieprawidłowościami syntezy pierwotnych kwasów żółciowych choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 18 grudnia 2002 r. produkt Orphacol uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

## **Jak stosować lek Orphacol?**

Lek Orphacol wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz specjalista mający doświadczenie w leczeniu chorób wątroby.

Lek Orphacol jest dostępny w postaci kapsułek i należy go przyjmować każdego dnia mniej więcej o tej samej porze, z posiłkiem. Dawka dobową wynosi od 5 do 15 mg na kilogram masy ciała i należy ją dostosować do każdego pacjenta odpowiednio do ilości kwasu żółciowego, przy czym minimalna dawka dobową wynosi 50 mg, a maksymalna – 500 mg. W przypadku małych dzieci, które nie potrafią połykać kapsułek, zawartość można wymieszać z mlekiem dla niemowląt lub sokiem. Leczenie należy przerwać, jeśli czynność wątroby nie ulegnie poprawie w ciągu trzech miesięcy.

## **Jak działa lek Orphacol?**

Kwas cholowy jest głównym pierwotnym kwasem żółciowym produkowanym przez wątrobę. Kwas cholowy zawarty w leku Orphacol zastępuje kwas cholowy, którego brakuje w organizmie pacjenta. Umożliwia to zmniejszenie produkcji nieprawidłowych kwasów żółciowych i przyczynia się do prawidłowego działania żółci w układzie pokarmowym, skutkując złagodzeniem objawów choroby.

## **Jakie korzyści ze stosowania leku Orphacol wykazały badania?**

Ponieważ kwas cholowy jest dobrze znaną substancją, a jego stosowanie w tego typu niedoborach enzymów jest ugruntowane, wnioskodawca przedstawił dane pochodzące z publikacji naukowych. Wnioskodawca przedstawił dane dotyczące 49 pacjentów z wrodzonymi nieprawidłowościami syntezy pierwotnych kwasów żółciowych (38 pacjentów z niedoborem oksydoreduktazy  $3\beta$ -hydroksy- $\Delta^5$ -C<sub>27</sub>-steroidowej oraz 11 pacjentów z niedoborem  $5\beta$ -reduktazy  $\Delta^4$ -3-oksosteroidowej). Dane dotyczyły porównania wyników leczenia 28 pacjentów, którzy otrzymywali kwas cholowy, z wynikami innych pacjentów, którzy otrzymywali inne kwasy żółciowe lub nie byli leczeni kwasami żółciowymi.

W publikacjach naukowych wykazano, że leczenie kwasem cholowym zmniejsza ilość nieprawidłowych kwasów żółciowych u pacjentów, przywraca prawidłową czynność wątroby, a także opóźnia konieczność przeszczepu wątroby bądź zapobiega jej.

## **Jakie są zagrożenia związane ze stosowaniem leku Orphacol?**

Działania niepożądane obserwowane w związku ze stosowaniem leku Orphacol to biegunka, świąd (swędzenie), wzrost aktywności aminotransferaz (enzymów wątrobowych) i prawdopodobnie występowanie kamieni żółciowych, choć częstości ich występowania nie można było wiarygodnie oszacować na podstawie dostępnych, ograniczonych danych.

Leku Orphacol nie należy stosować u osób, u których może występować nadwrażliwość (alergia) na kwas cholowy lub którykolwiek składnik produktu. Nie należy go stosować u pacjentów, którzy przyjmują już fenobarbital – lek stosowany w leczeniu padaczki.

## **Na jakiej podstawie zatwierdza się lek Orphacol?**

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) zauważył, że stosowanie kwasu cholowego w leczeniu wrodzonych nieprawidłowości syntezy pierwotnych kwasów żółciowych jest ugruntowane w praktyce medycznej i udokumentowane w publikacjach naukowych, mimo że liczba udokumentowanych przypadków była niska z powodu rzadkości choroby. Na podstawie danych z publikacji naukowych Komitet uznał, że korzyści płynące ze stosowania leku Orphacol przewyższają ryzyko i zalecił wydanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Lek Orphacol dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Orphacol 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 leku Orphacol?**

W związku z tym, że lek Orphacol dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, firma wprowadzająca ten lek do obrotu będzie prowadziła bazę danych pacjentów leczonych produktem Orphacol w celu monitorowania bezpieczeństwa jego stosowania i skuteczności leczenia oraz będzie przekazywać wyniki do CHMP w regularnych, ustalonych odstępach czasu.

### **Jakie środki przedsięwzięto w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Orphacol?**

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

Dodatkowo firma produkująca lek Orphacol udostępni lekarzom we wszystkich państwach członkowskich, w których lek ten będzie stosowany, pakiet zawierający dokumentację produktu oraz informacje dotyczące prawidłowego rozpoznania takich stanów chorobowych, ryzyka wystąpienia działań niepożądanych i prawidłowego stosowania leku.

### **Inne informacje dotyczące leku Orphacol**

W dniu 12 września 2013 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Orphacol do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące leku Orphacol znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports).

W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Orphacol 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 Orphacol znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Data ostatniej aktualizacji: 09.2013.