



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100668/2016
EMA/H/C/002081

Resumo do EPAR destinado ao público

Kolbam

ácido cólico

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Kolbam. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Kolbam.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Kolbam, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

O que é o Kolbam e para que é utilizado?

O Kolbam é um medicamento que contém a substância ativa ácido cólico. O ácido cólico é um «ácido biliar primário», que é um componente principal da bÍlis (um líquido segregado pelo fÍgado que ajuda na digestão das gorduras).

O Kolbam é utilizado para o tratamento prolongado de adultos e crianças a partir de um mês de idade cujo organismo não produz quantidade suficiente de ácidos biliares primários, como o ácido cólico, devido a anomalias genéticas que resultam numa deficiência das seguintes enzimas hepáticas (do fÍgado): esteroI 27-hidroxilase; 2-metilacil-CoA racemase; ou colesterol 7 α -hidroxilase.

Quando faltam estes ácidos biliares primários, o organismo produz ácidos biliares anormais, que podem causar lesões no fÍgado e provocar uma insuficiência hepática potencialmente fatal. Esta doença é designada por «erros congénitos da síntese do ácido biliar primário».

Dado o número de doentes afetados por erros congénitos da síntese do ácido biliar primário ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Kolbam foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 28 de outubro de 2009.



Como se utiliza o Kolbam?

O Kolbam só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico especialista nas doenças para as quais o Kolbam está indicado.

O Kolbam está disponível na forma de cápsulas (50 mg e 250 mg). A dose diária é escolhida e ajustada durante o tratamento de cada doente, em função dos níveis de ácidos biliares no sangue e na urina do doente e da respetiva função hepática. A dose diária máxima não deve exceder 15 mg por quilograma de peso corporal.

O Kolbam deve ser tomado todos os dias aproximadamente à mesma hora, juntamente com uma refeição. No caso das crianças pequenas que não conseguem engolir cápsulas, o conteúdo das mesmas pode ser misturado com leite em pó para bebé, leite materno extraído, puré de batata ou fruta esmagada.

Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

Como funciona o Kolbam?

O ácido cólico é um dos principais ácidos biliares primários produzidos pelo fígado. O ácido cólico contido no Kolbam substitui o ácido cólico em falta no doente. Isto ajuda a reduzir a produção de ácidos biliares anormais e contribui para a atividade normal da bília no sistema digestivo, aliviando, desta forma, os sintomas da doença.

Quais os benefícios demonstrados pelo Kolbam durante os estudos?

O Kolbam foi analisado num estudo principal que incluiu 52 doentes com erros congénitos da síntese do ácido biliar primário, incluindo 7 doentes com deficiência em esteroide 27-hidroxiase, 2-metilacil-CoA racemase ou colesterol 7 α -hidroxilase. Os principais parâmetros de eficácia utilizados neste estudo foram as alterações nos níveis de ácido biliar e na função hepática antes e depois do tratamento com o Kolbam. A eficácia do Kolbam para as indicações autorizadas foi estabelecida com base nos resultados deste estudo. Tal foi coerente com as expectativas clínicas e os dados extraídos da literatura.

Quais são os riscos associados ao Kolbam?

Os efeitos secundários associados ao Kolbam apresentam, de um modo geral, uma gravidade ligeira a moderada e são temporários. Os efeitos secundários mais frequentes (que podem afetar até 1 em cada 10 pessoas) são neuropatia periférica (lesões nervosas nas mãos e nos pés), diarreia, náuseas (enjoo), refluxo gástrico (ácido do estômago que sobe até à boca), esofagite (inflamação do esófago), icterícia (amarelecimento da pele e dos olhos), problemas cutâneos (lesões da pele) e mal-estar (sensação de indisposição).

O Kolbam é contraindicado quando administrado em associação com fenobarbital (um medicamento para a epilepsia).

Para a lista completa dos efeitos secundários e restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

Por que foi aprovado o Kolbam?

O Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da Agência concluiu que os benefícios do Kolbam são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE. O CHMP concluiu que o Kolbam tem efeitos benéficos em doentes com deficiências nas seguintes enzimas

hepáticas: esteroide 27-hidroxilase; 2-metilacil-CoA racemase; e colesterol 7 α -hidroxilase. Relativamente à segurança, os efeitos secundários aparentaram não ser graves e ser reversíveis.

O Kolbam foi autorizado em circunstâncias excepcionais. Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre o Kolbam devido à raridade da doença. A Agência Europeia de Medicamentos (EMA) procederá, anualmente, à análise de novas informações eventualmente disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Que informação ainda se aguarda sobre o Kolbam?

Dado que o Kolbam foi aprovado em circunstâncias excepcionais, a empresa que comercializa o Kolbam irá monitorizar os benefícios e a segurança do Kolbam a partir de um registo de doentes e fornecer atualizações anuais.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Kolbam?

Foi desenvolvido um plano de gestão dos riscos para garantir a utilização segura do Kolbam. Com base neste plano, foram incluídas informações de segurança no Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo do Kolbam, incluindo as precauções apropriadas a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes.

Além disso, a empresa responsável pela comercialização do Kolbam fornecerá material informativo com dados sobre a utilização correta e segura do Kolbam a todos os médicos potencialmente prescritores deste medicamento.

Podem ser encontradas informações adicionais no [resumo do plano de gestão dos riscos](#)

Outras informações sobre o Kolbam

Em 20 de novembro de 2015, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o Kolbam.

O EPAR completo e o resumo do plano de gestão dos riscos relativos ao Kolbam podem ser consultados no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports Para mais informações sobre o tratamento com o Kolbam, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Kolbam pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation

Este resumo foi atualizado pela última vez em 02-2016.