



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100669/2016
EMA/H/C/002081

Rezumat EPAR destinat publicului

Kolbam

acid colic

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Kolbam. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Kolbam.

Pentru informații practice privind utilizarea Kolbam, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

Ce este Kolbam și pentru ce se utilizează?

Kolbam este un medicament care conține substanța activă acid colic. Acesta este un „acid biliar primar”, un component principal al bilei (un lichid produs de ficat care ajută la digerarea grăsimilor).

Kolbam este autorizat ca tratament pe viață la adulți și copii începând cu vârsta de o lună care nu pot produce suficienți acizi biliari primari, cum este acidul colic, din cauza anumitor anomalii genetice ce determină un deficit al următoarelor enzime hepatice: sterol 27-hidroxilază, 2-metilacil-CoA racemază sau colesterol 7 α -hidroxilază.

În lipsa acizilor biliari primari, organismul produce acizi biliari anormali, care pot afecta ficatul, putând cauza insuficiență hepatică cu potențial letal. Afecțiunea este cunoscută sub numele de „defecte congenitale ale sintezei acizilor biliari primari”.

Din cauza numărului mic de pacienți cu defecte congenitale ale sintezei acizilor biliari primari, boala este considerată „rară”, iar Kolbam a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 28 octombrie 2009.

Cum se utilizează Kolbam?

Kolbam se poate obține numai pe bază de rețetă, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic specialist în boli pentru tratarea cărora se utilizează Kolbam.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Kolbam este disponibil sub formă de capsule (50 și 250 mg). Doza zilnică este aleasă și ajustată în timpul tratamentului pentru fiecare pacient în funcție de concentrațiile de acizi biliari din sânge și din urină și de funcția hepatică. Doza maximă zilnică nu poate depăși 15 mg pe kilogram greutate corporală.

Kolbam trebuie luat în fiecare zi la aproximativ aceeași oră, în timpul mesei. Pentru copiii mici care nu pot înghiți capsule, conținutul poate fi amestecat într-un preparat pentru sugari, în lapte matern muls, în piure de cartofi sau în piure de fructe.

Pentru mai multe informații, consultați prospectul.

Cum acționează Kolbam?

Acidul colic este unul dintre principalii acizi biliari primari produși de ficat. Acidul colic conținut în Kolbam înlocuiește acidul colic lipsă al pacientului. Acest lucru ajută la reducerea producției de acizi biliari anormali și contribuie la activitatea normală a bilei în sistemul digestiv, ameliorând astfel simptomele afecțiunii.

Ce beneficii a prezentat Kolbam pe parcursul studiilor?

Kolbam a fost investigat într-un studiu principal care a cuprins 52 de pacienți cu defecte congenitale ale sintezei acizilor biliari primari, inclusiv 7 pacienți care prezentau deficit de sterol 27-hidroxilază, 2-metilacil-CoA racemază sau colesterol 7 α -hidroxilază. Principalii indicatori ai eficacității au fost modificările concentrațiilor de acizi biliari și ale funcției hepatice înainte și după tratamentul cu Kolbam. Eficacitatea Kolbam în indicațiile autorizate a fost stabilită pe baza rezultatelor acestui studiu. Aceste rezultate au fost în concordanță cu așteptările clinice și cu datele din literatura de specialitate.

Care sunt riscurile asociate cu Kolbam?

Efectele secundare asociate cu Kolbam sunt, în general, ușoare până la moderate și trecătoare. Cele mai frecvente efecte secundare (care pot afecta până la 1 persoană din 10) sunt neuropatie periferică (leziuni ale nervilor la nivelul mâinilor și picioarelor), diaree, greață, reflux acid (acidul din stomac ajunge în gură), esofagită (inflamație a tubului care leagă cavitatea bucală de stomac), icter (îngălbenirea pielii și a ochilor), probleme de piele (leziuni) și indispoziție generală (stare de rău).

Kolbam este contraindicat în asociere cu fenobarbital (un medicament antiepileptic).

Pentru lista completă a efectelor secundare și a restricțiilor, consultați prospectul.

De ce a fost aprobat Kolbam?

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a hotărât că beneficiile Kolbam sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE. CHMP a concluzionat că medicamentul are efecte benefice la pacienții cu deficit al următoarelor enzime hepatice: sterol 27-hidroxilază, 2-metilacil-CoA racemază și colesterol 7 α -hidroxilază. În ceea ce privește siguranța, efectele secundare au părut a fi lipsite de gravitate și reversibile.

Kolbam a fost autorizat în „circumstanțe excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii, nu s-au putut obține informații complete despre Kolbam. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va analiza orice informație nou apărută, iar prezentul rezumat va fi actualizat, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Kolbam?

Având în vedere că Kolbam a fost autorizat în circumstanțe excepționale, compania care comercializează Kolbam va monitoriza beneficiile și siguranța medicamentului pe baza unui registru al pacienților și va furniza actualizări anuale.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Kolbam?

A fost elaborat un plan de management al riscurilor pentru ca Kolbam să fie utilizat în cel mai sigur mod posibil. Pe baza acestui plan, în Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru Kolbam, au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

În plus, compania care comercializează Kolbam va furniza materiale educaționale cu informații privind utilizarea corectă și sigură a Kolbam tuturor medicilor care se preconizează că vor prescrie acest medicament.

Informații suplimentare sunt disponibile în [rezumatul planului de management al riscurilor](#)

Alte informații despre Kolbam

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Kolbam, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 20 noiembrie 2015.

EPAR-ul complet și rezumatul planului de management al riscurilor pentru Kolbam sunt disponibile pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Kolbam, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Kolbam este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 02-2016.