



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Orphacol

acid colic

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Orphacol. 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 Orphacol.

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

Ce este Orphacol și pentru ce se utilizează?

Orphacol este un medicament care conține acid colic, o substanță ce se găsește în bilă și este utilizată pentru digerarea grăsimilor.

Medicamentul se utilizează pentru tratamentul adulților și al copiilor începând de la vârsta de o lună care prezintă o anomalie genetică din cauza căreia nu pot produce bilă. Orphacol se utilizează la pacienții care nu au o cantitate suficientă din două enzime hepatice specifice (3β -hidroxi- Δ^5 -C₂₇-steroid oxidoreductază sau Δ^4 -3-oxosteroid-5 β -reductază). Din această cauză, ficatul acestor pacienți nu poate produce o cantitate suficientă din principalele componente ale bilei, numite acizi biliari primari, cum ar fi acidul colic. Când acești acizi biliari primari lipsesc, organismul produce acizi biliari anormali, care pot afecta ficatul, putând cauza insuficiență hepatică cu potențial letal.

Din cauza numărului mic de pacienți cu defecte congenitale ale sintezei acizilor biliari primari, boala este considerată „rară”, iar Orphacol a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 18 decembrie 2002.



Cum se utilizează Orphacol?

Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă, iar tratamentul cu Orphacol trebuie inițiat și supravegheat de către un medic specialist în boli hepatice.

Orphacol este disponibil sub formă de capsule și trebuie administrat în fiecare zi, aproximativ la aceeași oră, în timpul mesei. Doza zilnică este cuprinsă între 5 și 15 mg pe kg greutate corporală, ajustată pentru fiecare pacient în funcție de profilul acizilor biliari, doza zilnică minimă fiind de 50 mg și doza zilnică maximă fiind de 500 mg. Pentru copiii mici care nu pot înghiți capsule, conținutul poate fi adăugat în lapte praf pentru sugari sau în suc. Tratamentul trebuie oprit dacă funcția hepatică nu se ameliorează în decurs de trei luni.

Cum acționează Orphacol?

Acidul colic este principalul acid biliar primar produs de ficat. Acidul colic conținut în Orphacol înlocuiește acidul colic lipsă al pacientului. Acesta ajută la scăderea producției de acizi biliari anormali și contribuie la activitatea normală a bilei în sistemul digestiv, ameliorând astfel simptomele afecțiunii.

Ce beneficii a prezentat Orphacol pe parcursul studiilor?

Deoarece acidul colic este o substanță bine cunoscută, iar utilizarea sa în aceste deficiențe enzimatică este bine stabilită, solicitantul a prezentat date din literatura științifică de specialitate. Solicitantul a prezentat date privind 49 de pacienți cu defecte congenitale ale sintezei acizilor biliari primari, preluate din literatura științifică de specialitate (38 de pacienți cu deficit de 3β -hidroxi- Δ^5 -C₂₇-steroid oxidoreductază și 11 pacienți cu deficit de Δ^4 -3-oxosteroid-5 β -reductază). S-au comparat rezultatele de la 28 de pacienți care au primit acid colic cu cele de la alți pacienți cărora li s-au administrat acizi biliari diferiți sau care nu au primit tratament cu acizi biliari.

În literatura științifică de specialitate, s-a demonstrat că tratamentul cu acid colic reduce cantitatea de acizi biliari anormali la pacienți, restabilește funcțiile normale ale ficatului și ajută la întârzierea sau preîntâmpinarea necesității unui transplant hepatic.

Care sunt riscurile asociate cu Orphacol?

Efectele secundare observate în asociere cu Orphacol au fost diaree, prurit (mâncărimi), creșterea valorilor transaminazelor (enzimelor hepatice) și, posibil, apariția calculilor biliari, deși frecvența acestora nu a putut fi estimată cu precizie din datele limitate disponibile.

Orphacol nu se administrează persoanelor care pot fi hipersensibile (alergice) la acid colic sau la oricare dintre celelalte ingrediente. Este contraindicat la pacienții care iau deja fenobarbital, un medicament utilizat pentru tratamentul epilepsiei.

De ce a fost aprobat Orphacol?

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a remarcat faptul că utilizarea acidului colic pentru tratamentul defectelor congenitale ale sintezei acizilor biliari primari a fost bine stabilită în practica medicală și documentată în literatura științifică de specialitate, deși numărul de cazuri documentate a fost scăzut din cauza rarității afecțiunii. Comitetul a hotărât că, pe baza dovezilor din literatura științifică de specialitate, beneficiile Orphacol sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru acest produs.

Orphacol a fost autorizat în „circumstanțe excepționale”. Aceasta înseamnă că din cauza rarității bolii nu s-au putut obține informații complete despre Orphacol. 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 Orphacol?

Având în vedere că Orphacol a fost autorizat în circumstanțe excepționale, compania care comercializează Orphacol va institui o bază de date cu pacienții tratați cu Orphacol pentru a monitoriza siguranța și eficacitatea tratamentului, iar rezultatele vor fi prezentate CHMP la intervale determinate și regulate.

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

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

Compania care produce Orphacol va furniza, de asemenea, medicilor din toate statele membre care vor utiliza Orphacol un pachet care va conține literatura de specialitate privind produsul și informații referitoare la diagnosticarea corectă a acestor afecțiuni, riscurile de efecte secundare și modul adecvat de utilizare a medicamentului.

Alte informații despre Orphacol

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Orphacol, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 12 septembrie 2013.

EPAR-ul complet pentru Orphacol este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Orphacol, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

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

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 09-2013.