



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100670/2016
EMA/H/C/002081

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Kolbam

kyselina cholová

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Kolbam. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Kolbam.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Kolbam, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Čo je liek Kolbam a na čo sa používa?

Kolbam je liek, ktorý obsahuje účinnú látku kyselinu cholovú. Ide o primárnu žlčovú kyselinu, ktorá je hlavnou zložkou žlče (tekutiny vytváratej v pečeni, ktorá pomáha tráviť tuky).

Liek Kolbam je povolený na celoživotnú liečbu dospelých a detí od veku jedného mesiaca, ktorí nie sú schopní vytvárať dostatočné množstvo primárnych žlčových kyselín, napríklad kyseliny cholovej, v dôsledku určitých genetických abnormalít, ktoré vedú k nedostatku týchto pečenejých enzýmov: sterol 27-hydroxyláza, 2-metylacyl-CoA racemáza alebo cholesterol 7 α -hydroxyláza.

Keď chýbajú tieto primárne žlčové kyseliny, telo namiesto nich vytvára abnormálne žlčové kyseliny, ktoré môžu poškodiť pečeň, čo môže viesť k život ohrozujúcemu zlyhaniu pečene. Tento stav je známy ako „vrodene poruchy syntézy primárnych žlčových kyselín“.

Keďže je počet pacientov s vrodenu poruchou syntézy primárnych žlčových kyselín nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Kolbam 28. októbra 2009 označený za liek na ojedinelé ochorenia (liek používaný pri zriedkavých ochoreniach).

Ako sa liek Kolbam užíva?

Výdaj lieku Kolbam je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý sa špecializuje na ochorenia liečené liekom Kolbam.



Liek Kolbam je dostupný vo forme kapsúl (50 a 250 mg). Denná dávka sa volí a upravuje počas liečby každého pacienta v závislosti od hladiny žlčových kyselín v krvi a moči a od funkcie pečene. Maximálna denná dávka nemá prekročiť 15 mg na kilogram telesnej hmotnosti.

Liek Kolbam sa má užívať každý deň približne v rovnakom čase spolu s jedlom. U malých detí, ktoré nemôžu kapsuly prehltnúť, sa obsah kapsúl môže zmiešať s detskou výživou, odstriekaným materským mliekom, zemiakovou kašou alebo ovocným pyré.

Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Akým spôsobom liek Kolbam účinkuje?

Kyselina cholová je jedna z hlavných primárnych žlčových kyselín, ktorá sa vytvára v pečeni. Kyselina cholová v lieku Kolbam nahrádza u pacienta chýbajúcu kyselinu cholovú. To pomáha znížiť vytváranie abnormálnych žlčových kyselín a prispieva k normálnemu pôsobeniu žlče v tráviacom systéme, čo zmierňuje príznaky tejto choroby.

Aké prínosy lieku Kolbam boli preukázané v štúdiách?

Liek Kolbam sa skúmal v jednej hlavnej štúdii, ktorej sa zúčastnilo 52 pacientov s vrodenou poruchou syntézy primárnych žlčových kyselín vrátane siedmich pacientov, ktorým chýba buď sterol 27-hydroxyláza, 2-metylacyl-CoA racemáza alebo cholesterol 7 α -hydroxyláza. Hlavným meradlom účinnosti boli zmeny v hladine žlčových kyselín a vo funkcii pečene pred liečbou a po liečbe liekom Kolbam. Účinnosť lieku Kolbam pre schválené indikácie bola stanovená na základe výsledkov tejto štúdie. Bolo to v súlade s klinickými očakávaniami a údajmi z literatúry.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Kolbam?

Vedľajšie účinky lieku Kolbam sú zvyčajne mierne až stredne závažné a sú prechodné. Najčastejšie vedľajšie účinky (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú periférna neuropatia (poškodenie nervov v rukách a nohách), hnačka, nauzea (pocit nevoľnosti), reflux kyseliny (vytekanie žalúdočnej kyseliny do úst), ezofagitída (zápal pažeráka), žltacka (zožltnutie kože a očí), kožné problémy (lézie) a nevoľnosť (pocit choroby).

Liek Kolbam sa nesmie používať v kombinácii s fenobarbitalom (liekom na epilepsiu).

Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Kolbam povolený?

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry rozhodol, že prínosy lieku Kolbam sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a odporučil udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ. Výbor CHMP dospel k záveru, že liek Kolbam je prínosom pre pacientov s deficienciou týchto pečenejých enzýmov: sterol 27-hydroxyláza, 2-metylacyl-CoA racemáza a cholesterol 7 α -hydroxyláza. Pokiaľ ide o bezpečnosť lieku, zdá sa, že vedľajšie účinky nie sú závažné a sú reverzibilné.

Liek Kolbam bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že pre zriedkavosť tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Kolbam. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

Aké informácie o lieku Kolbam dosiaľ neboli predložené?

Kedže liek Kolbam bol povolený za mimoriadnych okolností, spoločnosť, ktorá liek Kolbam uvádza na trh, bude sledovať prínosy a bezpečnosť lieku Kolbam na základe registra pacientov a každý rok predloží aktualizácie.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Kolbam?

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania lieku Kolbam bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté informácie o bezpečnosti lieku Kolbam vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Okrem toho spoločnosť, ktorá liek Kolbam uvádza na trh, poskytne vzdelávací materiál s informáciami o správnom a bezpečnom používaní lieku Kolbam všetkým lekárom, ktorí pravdepodobne budú tento liek predpisovať.

Viac informácií sa nachádza v [súhrne plánu riadenia rizík](#).

Ďalšie informácie o lieku Kolbam

Dňa 20. novembra 2015 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Kolbam na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Kolbam a súhrn plánu riadenia rizík sa nachádzajú na webovom sídle agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Kolbam, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Kolbam sa nachádza na webovom sídle agentúry EMA: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 02-2016