



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/241528/2017
EMA/H/C/004061

Povzetek EPAR za javnost

Henodeoksiholna kislina Lediand¹

henodeoksiholna kislina

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Henodeoksiholna kislina Lediand. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Henodeoksiholna kislina Lediand naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Henodeoksiholna kislina Lediand in za kaj se uporablja?

Henodeoksiholna kislina Lediand je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino henodeoksiholno kislino. Ta spada med primarne žolčne kisline, ki so glavna sestavina žolča (tekočine, ki se tvori v jetrih in pomaga pri presnovi maščob).

Zdravilo Henodeoksiholna kislina Lediand se uporablja za zdravljenje odraslih in otrok, starih en mesec ali več, s cerebrotendinozno ksantomatozo. Pri teh bolnikih zaradi prirojenih napak proizvodnje primarne žolčne kisline henodeoksiholne kisline ni zadostna, kar ima za posledico pomanjkanje jetrnega encima sterol 27-hidroksilaze. Kadar primarnih žolčnih kislin ni dovolj, telo namesto njih tvori nenormalne žolčne kisline in druge snovi, ki se kopičijo po vsem telesu in povzročajo škodo.

Ker je bolnikov s to boleznijo malo, velja ta za redko, zato je bilo zdravilo Henodeoksiholna kislina Lediand 16. decembra 2014 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Zdravilo Henodeoksiholna kislina Lediand je „hibridno zdravilo“. To pomeni, da je podobno referenčnemu zdravilu in vsebuje enako zdravilno učinkovino. Referenčno zdravilo za zdravilo

¹ Prej znano kot Henodeoksiholna kislina sigma-tau.



Henodeoksiholna kislina Leadiant je zdravilo Xenbilox. Vendar pa se to od zdravila Henodeoksiholna kislina Leadiant razlikuje po tem, da je odobreno za drugačno uporabo (za raztapljanje holesterolnih kamnov).

Kako se zdravilo Henodeoksiholna kislina Leadiant uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Henodeoksiholna kislina Leadiant je le na recept, zdravljenje pa mora začeti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem cerebrotendinozne ksantomatoze ali drugih bolezni tvorjenja primarne žolčne kisline.

Zdravilo Henodeoksiholna kislina Leadiant je na voljo v kapsulah (250 mg), ki se jemljejo trikrat na dan vsak dan približno ob istem času. Dnevni odmerek se določi in nato prilagaja med zdravljenjem za vsakega bolnika posebej glede na njegovo starost, delovanje jeter in ravni žolčnih kislin v krvi in urinu. Majhnim otrokom in otrokom, ki ne morejo pogoltniti kapsul, lahko njihovo vsebino zmešamo z 8,4-odstotno raztopino natrijevega bikarbonata, da dobimo tekočino.

Za več informacij glejte navodilo za uporabo.

Kako zdravilo Henodeoksiholna kislina Leadiant deluje?

Henodeoksiholna kislina je ena od glavnih primarnih žolčnih kislin, ki jih tvorijo jetra. Henodeoksiholna kislina v tem zdravilu nadomesti henodeoksiholno kislino, ki je primanjkuje bolniku. To pomaga zmanjšati tvorbo nenormalnih snovi in prispeva k normalnemu delovanju žolča v prebavilih ter tako lajša simptome bolezni.

Kakšne koristi je zdravilo Henodeoksiholna kislina Leadiant izkazalo v študijah?

Zdravilo Henodeoksiholna kislina Leadiant so proučevali v študiji, v kateri so pregledali bolniške kartoteke 35 bolnikov s cerebrotendinozno ksantomatozo, ki so prejeli henodeoksiholno kislino približno 9 let. Pri vseh 23 bolnikih, za katere so bili dostopni podatki o ravneh žolčne kisline v krvi, se je ta znižala (povprečno znižanje od 56 do 69 $\mu\text{mol/l}$). Od 14 bolnikov, za katere so bili dostopni podatki o ravneh žolčne kisline v urinu, je imelo znižane ravni pri najnovejši analizi 79 % (11 od 14). Pri večini bolnikov so se izboljšali tudi simptomi bolezni: vsi so poročali o izboljšanju driske, pri 89 % bolnikov se je pokazalo izboljšanje miselnih sposobnosti, pri 60 % izboljšanje mobilnosti in pri 85 oziroma 77 % bolnikov izboljšanje duševnega zdravja na podlagi dveh različnih merjenj.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Henodeoksiholna kislina Leadiant?

Neželeni učinki, opaženi pri zdravilu Henodeoksiholna kislina Leadiant so zaprtje in nenormalne vrednosti testov jeter; vendar njihove pogostnosti ni bilo mogoče zanesljivo oceniti iz razpoložljivih omejenih podatkov. Njihova resnost je bila blaga do zmerna in niso trajali dolgo.

Za celoten seznam omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Henodeoksiholna kislina Leadiant odobreno?

Henodeoksiholna kislina se uporablja za zdravljenje cerebrotendinozne ksantomatoze približno 40 let, čeprav ni bila odobrena za to uporabo. Glede na redkost te bolezni so razpoložljivi podatki o uporabi zdravila še vedno omejeni. Kljub temu so študije pokazale, da zdravilo bolnikom koristi in nima pomembnih neželenih učinkov. Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji je

zato zaključil, da so koristi zdravila Henodeoksiholna kislina Lediand večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Henodeoksiholna kislina Lediand je pridobilo dovoljenje za promet v „izjemnih okoliščinah“. Do tega je prišlo zato, ker zaradi redkosti bolezni ni bilo mogoče pridobiti vseh informacij o njem. Evropska agencija za zdravila bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo, in posodobila povzetek glavnih značilnosti zdravila, če bo potrebno.

Katere informacije o zdravilu Henodeoksiholna kislina Lediand še pričakujemo?

Ker je zdravilo Henodeoksiholna kislina Lediand pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, bo družba, ki ga trži, vodila seznam za spremljanje njegovih koristi in varnosti.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Henodeoksiholna kislina Lediand?

Priporočila in varnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Henodeoksiholna kislina Lediand upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo.

Druge informacije o zdravilu Henodeoksiholna kislina Lediand

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Henodeoksiholna kislina sigma-tau, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 10. aprila 2017. Ime zdravila je bilo 12. maja 2017 spremenjeno v Henodeoksiholna kislina Lediand.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Henodeoksiholna kislina Lediand je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Henodeoksiholna kislina Lediand preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Henodeoksiholna kislina Lediand je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 06-2017.