



EMA/100671/2016
EMA/H/C/002081

Povzetek EPAR za javnost

Kolbam

holna kislina

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Kolbam. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila to 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 Kolbam naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Kolbam in za kaj se uporablja?

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

Zdravilo Kolbam se uporablja za vseživljenjsko zdravljenje odraslih in otrok, starejših od enega meseca, ki zaradi genetskih nepravilnosti, katerih posledica je pomanjkanje jetrnih encimov sterol 27-hidroksilaze, 2-metilacil-CoA racemaze ali holesterol 7 α -hidroksilaze niso zmožni tvoriti dovolj primarnih žolčnih kislin, kot je holna kislina.

Če teh primarnih žolčnih kislin primanjkuje, telo namesto njih tvori nenormalne žolčne kisline, ki lahko poškodujejo jetra in povzročijo njeno odpoved, kar je lahko smrtno nevarno. To obolenje imenujemo „prirojene napake v sintezi primarnih žolčnih kislin“.

Ker je bolnikov s prirojenimi napakami v sintezi primarnih žolčnih kislin malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Kolbam 28. oktobra 2009 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Kako se zdravilo Kolbam uporablja?

Izdaja zdravila Kolbam je le na recept, zdravljenje pa mora uvesti in nadzirati zdravnik, specializiran za bolezni, za zdravljenje katerih se uporablja zdravilo Kolbam.



Zdravilo je na voljo v obliki kapsul (50 in 250 mg). Dnevni odmerek se določi in nato prilagaja med zdravljenjem za vsakega bolnika posebej glede na ravni žolčnih kislin v krvi in urinu ter delovanje jeter. Dnevni odmerek ne sme preseči 15 mg na kilogram telesne mase.

Zdravilo Kolbam je treba jemati vsak dan ob približno istem času, in sicer z obrokom. Majhnim otrokom, ki ne morejo pogoltniti kapsul, se lahko vsebina zmeša z otroško formulo, iztisnjnim materinim mlekom, krompirjevim pirejem ali sadno kašico.

Za več informacij glejte navodilo za uporabo.

Kako zdravilo Kolbam deluje?

Holna kislina je ena od glavnih primarnih žolčnih kislin, ki jih tvorijo jetra. Holna kislina, ki jo vsebuje zdravilo Kolbam, nadomesti holno kislino, ki je primanjkuje bolniku. To pomaga zmanjšati tvorbo nenormalnih žolčnih kislin in prispeva k normalnemu delovanju žolča v prebavilih ter tako lajša simptome te bolezni.

Kakšne koristi je zdravilo Kolbam izkazalo v študijah?

Zdravilo Kolbam so proučevali v eni glavni študiji, v kateri je sodelovalo 52 bolnikov s prirojenimi napakami v sintezi primarnih žolčnih kislin, vključno s sedmimi bolniki, ki jim je primanjkovalo sterol 27-hidroksilaze, 2-metilacil-CoA racemaze ali holesterol 7 α hidroksilaze. Glavno merilo učinkovitosti so bile spremembe v ravneh žolčnih kislin in delovanju jeter pred zdravljenjem z zdravilom Kolbam in po njem. Učinkovitost zdravila Kolbam za odobrene indikacije je bila določena na osnovi rezultatov te študije. Rezultati so bili skladni s kliničnimi pričakovanji in podatki iz literature.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Kolbam?

Neželeni učinki zdravila Kolbam so na splošno blagi do zmerni in prehodni. Najpogostejši neželeni učinki (ki lahko prizadenejo največ 1 osebo od 10) so periferna nevropatija (poškodba živcev v dlaneh in stopalih), driska, navzeja (slabost), želodčni refluks (dvigovanje želodčne kisline v usta), ezofagitis (vnetje požiralnika), zlatenica (rumena koža in oči), težave s kožo (lezije) in splošno slabo počutje.

Zdravilo Kolbam se ne sme uporabljati v kombinaciji s fenobarbitalom (zdravilom proti epilepsiji).

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Kolbam odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji je zaključil, da so koristi zdravila Kolbam večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se odobri za uporabo v EU. Zaključil je, da ima zdravilo Kolbam koristne učinke za bolnike s pomanjkanjem naslednjih jetrnih encimov: sterol 27-hidroksilaze, 2-metilacil-CoA racemaze in holesterol 7 α hidroksilaze. Z vidika varnosti tega zdravila se zdi, da neželeni učinki niso resni in so reverzibilni.

Zdravilo Kolbam 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 Kolbam še pričakujemo?

Ker je zdravilo Kolbam pridobilo dovoljenje za promet v izjemnih okoliščinah, bo družba, ki ga trži, s pomočjo registra bolnikov spremljala njegove koristi in varnost ter zagotovila vsakoletne posodobitve.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Kolbam?

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila Kolbam je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu s tem načrtom so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

Poleg tega bo družba, ki trži zdravilo Kolbam, vsem zdravnikom, ki naj bi predpisovali to zdravilo, priskrbelo izobraževalno gradivo z informacijami o njegovi pravilni in varni uporabi.

Dodatne informacije so na voljo v [povzetku načrta obvladovanja tveganj](#).

Druge informacije o zdravilu Kolbam

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Kolbam, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 20. novembra 2015.

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

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote za zdravilo Kolbam je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 02-2016.