

EMA/865142/2011
EMA/H/C/001252

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Bronchitol

Mannitol

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Bronchitol. Det förklarar hur Kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt ställningstagande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas.

Vad är Bronchitol?

Bronchitol är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen mannitol. Det finns som kapslar (40 mg) som innehåller ett torrt inhalationspulver för användning med en inhalator.

Vad används Bronchitol för?

Bronchitol används för att behandla cystisk fibros hos vuxna som tillägg till bästa standardbehandling.

Cystisk fibros är en ärftlig sjukdom hos de celler i lungorna och de körtlar i matsmältningskanalen och bukspottskörteln som utsöndrar vätskor såsom slem och magsaft. Vid cystisk fibros blir dessa vätskor tjocka och trögflytande och blockerar luftvägarna och flödet av magsaft. Detta leder till problem med matsmältningen och födoämnesupptaget, med efterföljande nedsatt tillväxt och långvarig infektion och inflammation i lungorna till följd av att överskottet av slem inte rensas bort.

Eftersom antalet patienter med cystisk fibros är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Bronchitol klassificerades som särskilt läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 7 november 2005.

Läkemedlet är receptbelagt.

Hur används Bronchitol?

Inför behandlingen med Bronchitol behöver insättningsdosen bedömas, vilket innebär att patienterna prövas med en ökande dos Bronchitol upp till totalt 400 mg för att upptäcka bronkial hyperreaktivitet

(vid vilken lungornas luftvägar lätt blir förträngda). Patienter som uppvisar bronkial hyperreaktivitet får inte behandlas med Bronchitol.

Den första dosen 400 mg Bronchitol får bara ges under övervakning av kvalificerad sjukvårdspersonal i en miljö där det är möjligt att korrekt övervaka patientens andning och där det finns utrustning för återupplivning.

Bronchitol inhaleras med hjälp av den tillhandahållna inhalatorn. Kapslarna får aldrig sväljas. Rekommenderad dos är 400 mg (vilket kräver inhalation av innehållet i 10 kapslar som fylls var och en för sig i inhalatorn) två gånger dagligen på morgonen och kvällen. Kvälldosen ska tas två till tre timmar före sänggåendet.

Mer information om hur Bronchitol ska användas finns i anvisningarna i bipacksedeln.

Hur verkar Bronchitol?

Den aktiva substansen i Bronchitol, mannitol, är en naturligt förekommande polyol (en sockeralkohol) som ofta används som osmotiskt medel. Detta innebär att det kan främja osmos (flödet av vätska över ett membran). Exakt hur Bronchitol verkar vid cystisk fibros är inte känt. Efter att Bronchitol inhalerats tros det ge upphov till inflödet av vätska in i luftvägsutsöndringarna i lungorna, vilket gör dessa mindre viskösa och därför lättare att rensa ut.

Hur har Bronchitols effekt undersökts?

Effekterna av Bronchitol prövades först i olika experimentmodeller innan de studerades på människor.

Bronchitol prövades i två huvudstudier med 642 patienter mellan sex och 56 års ålder med lätt eller måttlig cystisk fibros. I båda studierna fick patienterna antingen 400 mg inhalerat Bronchitol två gånger dagligen eller 50 mg inhalerat Bronchitol två gånger dagligen (vilket ansågs ineffektivt och därför var avsett som placebo (overksam behandling)). Vissa patienter fick dessutom ytterligare behandling med rhDNAs (en annan behandling för cystisk fibros). Huvudeffektmåttet var baserat på förbättring av patienternas forcerade expiratoriska volym under en sekund (FEV₁), justerat med hänsyn till patientens ålder, längd och kön, uppmätt över 26 veckor i båda studierna. FEV₁ är den största mängden luft en person kan andas ut på en sekund.

Vilken nytta har Bronchitol visat vid studierna?

Patienterna uppvisade genomgående en förbättring på cirka 2-3 procent av FEV₁ justerat med hänsyn till ålder, längd och kön jämfört med placebo efter 26 veckors behandling med Bronchitol.

Vilka är riskerna med Bronchitol?

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Bronchitol (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) är hosta. Den allvarligaste biverkningen med Bronchitol är bronkialspasm (förträngning av lungornas luftvägar) under bedömningen av insättningsdosen samt hemoptys (upphostning av blod) under behandlingen med Bronchitol. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Bronchitol finns i bipacksedeln.

Bronchitol får inte ges till personer som är överkänsliga (allergiska) mot mannitol. Bronchitol får inte ges till patienter med bronkial hyperreaktivitet.

Varför har Bronchitol godkänts?

Kommittén intog ståndpunkten att förbättringen av FEV₁ i studierna visserligen var liten men att Bronchitol kan vara till nytta för patienter med cystisk fibros om det används som tillägg till bästa standardbehandling. Vad gäller Bronchitols säkerhet ansåg CHMP att företaget har föreslagit tillräckliga åtgärder för att minska riskerna av bronkialspasm och hemoptys. CHMP fann därför att nyttan med Bronchitol som tillägg till bästa standardbehandling är större än riskerna för vuxna patienter med cystisk fibros och rekommenderade att Bronchitol skulle godkännas för försäljning.

Vad görs för att garantera säker användning av Bronchitol?

Företaget som tillverkar Bronchitol måste se till att all sjukvårdspersonal som förväntas förskriva läkemedlet förses med viktig säkerhetsinformation, inräknat information om risken av förträngning av lungornas luftvägar och upphostning av blod och hur denna risk ska hanteras.

För att få ytterligare information om Bronchitols effekt och säkerhet hos barn och ungdomar med cystisk fibros bad CHMP att företaget skulle utföra en studie i denna patientgrupp.

Mer information om Bronchitol

Den 13 april 2012 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Bronchitol som gäller i hela Europeiska unionen.

Det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports. Mer information om behandling med Bronchitol finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Bronchitol från Kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 04-2012.