



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/100672/2016
EMA/H/C/002081

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Kolbam cholsyra

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Kolbam. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Kolbam ska användas.

Praktisk information om hur Kolbam ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Kolbam och vad används det för?

Kolbam är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen cholsyra. Detta är en "primär gallsyra", som är en huvudbeståndsdel i gallan (en vätska som tillverkas i levern och som hjälper till att bryta ner fett i maten).

Kolbam är godkänt för livslång behandling av vuxna och barn från en månads ålder som till följd av genetiska avvikelser inte kan bilda tillräckligt med primära gallsyror såsom cholsyra, vilket leder till brist på följande leverenzym: sterol 27-hydroxylas, 2-metylacyl-CoA-racemas eller kolesterol 7 α -hydroxylas.

Vid brist på primära gallsyror tillverkar kroppen i stället onormala gallsyror, vilket kan skada levern och eventuellt leda till livshotande leversvikt. Tillståndet kallas "medfödda rubbningar i syntesen av primära gallsyror".

Eftersom antalet patienter med medfödda rubbningar i syntesen av primära gallsyror är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Kolbam klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 28 oktober 2009.

Hur används Kolbam?

Kolbam är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av en läkare som är specialiserad på de sjukdomar som Kolbam används för att behandla.



Kolbam finns som kapslar (50 mg och 250 mg). Under behandlingen väljs och justeras den dagliga dosen för varje patient beroende på halterna av gallsyror i blodet och urinen samt patientens leverfunktion. Den högsta dagliga dosen får inte överskrida 15 mg per kilogram kroppsvikt.

Kolbam ska tas vid ungefär samma tid varje dag i samband med måltid. Till små barn som inte kan svälja kapslar kan innehållet blandas med modersmjölksersättning, utpumpad bröstmjolk, potatismos eller fruktpuré.

Mer information finns i bipacksedeln.

Hur verkar Kolbam?

Cholsyra är en av de viktigaste primära gallsyrorna som framställs av levern. Cholsyran i Kolbam ersätter den cholsyra som patienten saknar. Detta bidrar till att minska produktionen av onormala gallsyror och normalisera gallans aktivitet i matsmältningssystemet, vilket lindrar sjukdomssymtomen.

Vilken nytta med Kolbam har visats i studierna?

Kolbam undersöktes i en huvudstudie på 52 patienter med medfödda rubbningar i syntesen av primära gallsyror, däribland 7 patienter som antingen saknade sterol 27-hydroxylas, 2-metylacyl-CoA-racemas eller kolesterol 7 α -hydroxylas. De viktigaste måtten på effekt var förändring av gallsyrevärden och leverfunktion före och efter behandling med Kolbam. Kolbams effekt vid de godkända indikationerna kunde fastställas av resultaten från denna studie. Detta överensstämde med de kliniska förväntningarna och litteraturuppgifter.

Vilka är riskerna med Kolbam?

Biverkningarna som orsakas av Kolbam är i allmänhet lindriga till måttliga och övergående. De vanligaste biverkningarna (kan uppträda hos upp till 1 av 10 personer) är perifer neuropati (nervskada i händer och fötter), diarré, illamående, sura uppstötningar (magsyra som läcker upp i munnen), esofagit (inflammation i matstrupen), gulsot (guldfärgning av hud och ögon), hudproblem (hudskador) samt sjukdomskänsla.

Kolbam får inte användas i kombination med fenobarbital (ett läkemedel mot epilepsi).

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför godkänns Kolbam?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att nyttan med Kolbam är större än riskerna och rekommenderade att Kolbam skulle godkännas för försäljning i EU. CHMP drog slutsatsen att Kolbam har gynnsamma effekter hos patienter med brist på följande leverenzym: sterol-27-hydroxylas, 2-metylacyl-CoA-racemas och kolesterol 7 α -hydroxylas. Vad gäller säkerheten verkade biverkningarna vara icke-allvarliga och övergående.

Kolbam har godkänts i enlighet med reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta beror på att det inte har varit möjligt att få fullständig information om Kolbam eftersom sjukdomen är sällsynt. Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om produkten varje år och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Kolbam saknas för närvarande?

Eftersom Kolbam har godkänts i enlighet med reglerna om godkännande i undantagsfall kommer företaget som marknadsför Kolbam att övervaka nyttan och säkerheten med Kolbam genom ett patientregister och lämna in årliga uppdateringar.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Kolbam?

En riskhanteringsplan har tagits fram för att se till att Kolbam används så säkert som möjligt. I enlighet med denna plan har säkerhetsinformation tagits med i produktresumén och bipacksedeln för Kolbam. Där anges också lämpliga försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska vidta.

Företaget som marknadsför Kolbam kommer dessutom att se till att alla läkare som förväntas förskriva läkemedlet får utbildningsmaterial med information som förklarar hur Kolbam används på ett korrekt och säkert sätt.

I [sammanfattningen av riskhanteringsplanen](#) finns mer information.

Mer information om Kolbam

Den 20 november 2015 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Kolbam som gäller i hela EU.

EPAR och sammanfattningen av riskhanteringsplanen finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Mer information om behandling med Kolbam finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Kolbam från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 02-2016.