

EMA/572393/2013
EMA/H/C/001250

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Orphacol

cholsyra

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Orphacol. 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 Orphacol ska användas.

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

Vad är Orphacol och vad används det för?

Orphacol är ett läkemedel som innehåller cholsyra, en substans i gallan som används för att bryta ner fetter.

Det används för att behandla vuxna och barn från en månads ålder som har en genetisk avvikelse som gör att de inte kan producera galla. Orphacol ges till patienter som inte har tillräcklig mängd av två specifika leverenzymmer (3β -hydroxi- Δ^5 -C₂₇-steroidoxidoreduktas eller Δ^4 -3-oxosteroid-5 β -reduktas). Denna brist gör att levern inte kan producera tillräckliga mängder av huvudbeståndsdelarna i gallan, så kallade primära gallsyror, exempelvis cholsyra. När dessa primära gallsyror saknas producerar kroppen onormala gallsyror som kan skada levern och eventuellt leda till livshotande leversvikt.

Eftersom antalet patienter med medfödda rubbningar i syntesen av primära gallsyror är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Orphacol klassificerades som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 18 december 2002.

Hur används Orphacol?

Läkemedlet är receptbelagt och behandling med Orphacol ska inledas och övervakas av läkare som är specialiserad på leversjukdomar.

Orphacol finns som kapslar och ska tas varje dag vid ungefär samma tidpunkt, i samband med måltid. Den dagliga dosen ligger på mellan 5 och 15 mg per kg kroppsvikt, vilket justeras för varje patient i

enlighet med deras gallsyrors tillstånd, med en minsta daglig dos på 50 mg och en högsta på 500 mg. Innehållet kan blandas med modersmjölksersättning eller juice åt små barn som inte kan svälja kapslar. Behandlingen ska avbrytas om leverfunktionen inte förbättras inom tre månader.

Hur verkar Orphacol?

Cholsyra är den viktigaste primära gallsyran som produceras av levern. Cholsyran i Orphacol ersätter den cholsyra som patienten saknar. Detta hjälper till att minska produktionen av onormala gallsyror och bidrar till gallans normala aktivitet i matsmältningssystemet, vilket minskar symtomen av tillståndet.

Vilken nytta med Orphacol har visats i studierna?

Då cholsyra är en välkänd substans och dess användning vid dessa enzymbristtillstånd är väletablerad lade sökanden fram data från den vetenskapliga litteraturen. Sökanden lade fram data om 49 patienter med medfödda rubbningar i syntesen av primära gallsyror, hämtade från den vetenskapliga litteraturen (38 patienter med 3β -hydroxi- Δ^5 -C₂₇-steroidoxidoreduktasbrist och 11 patienter med Δ^4 -3-oxosteroid-5 β -reduktasbrist). Resultaten från 28 patienter som fick cholsyra jämfördes med andra patienter som fick andra gallsyror eller inte behandlades med gallsyror.

Av den vetenskapliga litteraturen framgick att cholsyra minskar mängden onormal gallsyra hos patienterna, återställer leverns normala funktioner och hjälper till att försena eller förhindra behovet av levertransplantation.

Vilka är riskerna med Orphacol?

De biverkningar som setts med Orphacol är diarré, pruritus (klåda), förhöjda nivåer av transaminaser (leverenzym) och möjligen gallstenar, även om ingen pålitlig frekvens kunde uppskattas från de tillgängliga begränsade uppgifterna.

Orphacol ska inte ges till personer som kan vara överkänsliga (allergiska) mot cholsyra eller något annat innehållsämne. Det får inte tas av patienter som redan tar fenobarbital, ett läkemedel för behandling av epilepsi.

Varför godkänns Orphacol?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att användning av cholsyra för behandling av medfödda rubbningar i syntesen av primära gallsyror är väletablerad i medicinsk praxis och dokumenterad i den vetenskapliga litteraturen, även om antalet dokumenterade fall är lågt till följd av att sjukdomen är sällsynt. Kommittén beslutade att fynden från den vetenskapliga litteraturen pekar på att nyttan med Orphacol är större än riskerna och rekommenderade att Orphacol skulle godkännas för försäljning.

Orphacol har godkänts i enlighet med reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta beror på att det inte har varit möjligt att få fullständig information om Orphacol eftersom sjukdomen är sällsynt. Europeiska läkemedelsmyndigheten går varje år igenom eventuell ny information som kommer fram och uppdaterar denna sammanfattning när så behövs.

Vilken information om Orphacol saknas för närvarande?

Eftersom Orphacol har godkänts i enlighet med reglerna om godkännande i undantagsfall kommer företaget som marknadsför Orphacol att upprätta en databas över patienter som behandlas med Orphacol för att övervaka säkerhet och effekt av behandlingen, och kommer att skicka in resultaten till CHMP vid regelbundna, fastställda intervall.

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

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

Företaget som tillverkar Orphacol kommer också att ge läkare i alla medlemsstater som kommer att använda Orphacol ett paket som innehåller produktlitteratur och produktinformation om den korrekta diagnosen av dessa sjukdomar, riskerna för biverkningar och det rätta sättet att använda läkemedlet.

Mer information om Orphacol

Den 12 september 2013 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Orphacol som gäller i hela EU.

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 Orphacol finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av yttrandet om Orphacol från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Denna sammanfattning aktualiserades senast 09-2013.