



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/348518/2011
EMA/H/C/000461

Резюме на EPAR за обществено ползване

Carbaglu

carglumic acid

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Carbaglu. В него се разяснява оценката на Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) относно лекарството, на която Комитетът основава становище за издаване на разрешение за употреба и препоръки относно условията на употреба за Carbaglu.

Какво представлява Carbaglu?

Carbaglu е лекарство, съдържащо активното вещество карглумова киселина (*carglumic acid*). Предлага се под формата на диспергиращи се таблетки. „Диспергиращи се“ означава, че таблетките могат да се разтварят (смесват) във вода.

За какво се използва Carbaglu?

Carbaglu се използва за лечение на хиперамонемия (високо съдържание на амоняк) при пациенти със следните метаболитни заболявания:

- недостиг на N-ацетилглутамат синтаза (NAGS). При пациенти с това хронично заболяване има недостиг на ензима NAGS, който обикновено спомага за разграждане на амоняка. Когато този ензим липсва, амонякът не може да се разгражда и се натрупва в кръвта;
- някои органични ацидемии (изовалерианова ацидемия, метилмалонова ацидемия и пропионова ацидемия), при които пациентите имат недостиг на определени ензими, участващи в метаболизма на протеините. Тъй като броят на пациентите с тези заболявания е малък, те се смятат за „редки“ и Carbaglu е определен за „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на различни дати (вж. по-долу).

Лекарствен продукт, отпускан по лекарско предписание.



Как да използвате Carbaglu?

Лечението с Carbaglu трябва да се започне от лекар с опит в лечението на пациенти с метаболитни заболявания.

При недостиг на NAGS лечението започва през първия ден от живота на пациента, а лекарството се прилага през целия му живот. При органични ацидемии лечението започва, когато пациентът получи хиперамонемична криза и продължава до преминаване на кризата.

Началната дневна доза Carbaglu трябва да бъде 100 mg на килограм телесно тегло, като може да достигне 250 mg/kg, ако е необходимо. След това дозата трябва да се коригира, за да се поддържат нормални плазмени нива на амоняка. Преди да се дадат на пациента, таблетките се разтварят (смесват) в малко вода. Таблетките могат лесно да бъдат разчупени на две равни половини.

Как действа Carbaglu?

Когато се натрупа в кръвта, амонякът е токсичен за организма, особено за мозъка. Carbaglu е структурно подобен на N-ацетилглутамат, който активира разграждащия амоняка ензим. По този начин Carbaglu помага за разграждането на амоняка, като намалява плазмените нива на амоняка и токсичните му ефекти.

Как е проучен Carbaglu?

Carbaglu е проучен при 20 пациенти, 12 от които са с недостиг на N-ацетилглутамат синтаза и са лекувани средно за около три години. Останалите осем пациенти са лекувани за хиперамонемия, дължаща се на други причини. Компанията е представила също информация от публикуваната литература относно още четирима пациенти, лекувани с активното вещество в Carbaglu.

Carbaglu е проучен и при 57 пациенти (около две трети са новородени бебета) с изовалерианова ацидемия, метилмалонова ацидемия или пропионова ацидемия, лекувани с Carbaglu при хиперамонемични кризи.

Във всички проучвания основната мярка за ефективност е промяната на плазмените нива на амоняка.

Какви ползи от Carbaglu са установени в проучванията?

При пациенти с недостиг на NAGS след лечение с Carbaglu нивата на амоняк се нормализират. Лекуваните с Carbaglu пациенти остават стабилни, без да са необходими ограничения в храненето или употреба на други лекарства.

При пациенти с изовалерианова ацидемия, метилмалонова ацидемия или пропионова ацидемия, Carbaglu също води до намаляване на плазмените нива на амоняк след лечение от 5,5 дни средно.

Какви са рисковете, свързани с Carbaglu?

Най-честата нежелана реакция при Carbaglu (наблюдавана при 1 до 10 от 100 пациенти) е повишено изпотяване. За пълния списък на всички наблюдавани при Carbaglu нежелани реакции – вижте листовката.

Carbaglu е противопоказан за хора, които биха могли да проявят свръхчувствителност (алергични реакции) към карглумова киселина или някоя от другите съставки. Carbaglu не трябва да се използва при кърмещи жени.

Какви са основанията за одобряване на Carbaglu?

CHMP заключава, че Carbaglu е ефективен за намаляване на амонияк в кръвта до нормални нива, и решава, че ползите от Carbaglu са по-големи от рисковете. Комитетът препоръчва на Carbaglu да бъде издадено разрешение за употреба.

Допълнителна информация за Carbaglu:

Европейската комисия издава разрешение за употреба, валидно в Европейския съюз за Carbaglu на Orphan Europe на 24 януари 2003 г. Разрешението за употреба е безсрочно.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци относно Carbaglu може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations) (недостиг на [NAGS](#): 18 октомври 2000 г.; [изовалерианова ацидемия](#): 7 ноември 2008 г.; [метилмалонова](#) ацидемия: 7 ноември 2008 г.; [пропионова](#) ацидемия: 7 ноември 2008 г.).

Пълният текст на EPAR относно Carbaglu може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). За повече информация относно лечението с Carbaglu – прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Дата на последно актуализиране на текста 05-2011.