

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Carbaglu

acidum carginum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Carbaglu. Objasňuje, jakým způsobem Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) vyhodnotil tento přípravek, aby mohl vypracovat své stanovisko k vydání rozhodnutí o registraci a doporučení ohledně podmínek pro používání přípravku Carbaglu.

Co je Carbaglu?

Carbaglu je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku kyselinu karginovou. Je dostupný ve formě dispergovatelných tablet. „Dispergovatelný“ znamená, že tablety lze dispergovat (rozpustit) ve vodě.

Na co se přípravek Carbaglu používá?

Přípravek Carbaglu se používá k léčbě hyperamonémie (vysoké hladiny amoniaku v krvi) u pacientů s těmito metabolickými onemocněními:

- deficitem syntázy N-acetylglutamátu (NAGS). Pacientům, kteří trpí tímto celoživotním onemocněním, chybí jaterní enzym s názvem NAGS, který běžně pomáhá při štěpení amoniaku. Není-li tento enzym přítomen, amoniak nemůže být rozštěpen a hromadí se v krvi,
- některými organickými acidemiemi (isovalerickou acidémií, methylmalonovou acidémií a propionovou acidémií), v případě kterých pacientům chybí určité enzymy, které se podílejí na metabolismu bílkovin.

Jelikož počet pacientů s uvedenými onemocněními je nízký, tato onemocnění se považují za zřídka se vyskytující a přípravek Carbaglu byl k určitým datům (viz níže) označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

Jak se přípravek Carbaglu používá?

Léčbu přípravkem Carbaglu by měl zahájit lékař se zkušenostmi s léčbou pacientů s metabolickými onemocněními.

Pacienty s deficitem NAGS lze začít léčit již první den života a léčivý přípravek jim podávat po celý život. U pacientů s organickými acidémiemi se léčba zahajuje při hyperamonemické krizi a pokračuje, dokud krize nepomine.

Počáteční denní dávka přípravku Carbaglu by měla být 100 mg na kilogram tělesné hmotnosti, pokud je to však nutné, lze ji zvýšit až na 250 mg/kg. Dávka by poté měla být upravena tak, aby se udržela normální hladina amoniaku v krvi. Tablety by měly být před podáním pacientovi dispergovány (rozpustěny) v malém množství vody. Lze je snadno rozlomit napůl.

Jak přípravek Carbaglu působí?

Hromadění amoniaku v krvi působí toxicky na organismus, zejména na mozek. Přípravek Carbaglu je strukturou velmi podobný N-acetylglutamátu, který aktivuje enzym, jenž štěpí amoniak. Přípravek Carbaglu tak napomáhá štěpení amoniaku, snižuje jeho hladinu v krvi a omezuje jeho toxické účinky.

Jak byl přípravek Carbaglu zkoumán?

Přípravek Carbaglu byl zkoumán na celkem 20 pacientech, z nichž 12 trpělo deficitem NAGS a bylo léčeno průměrně po dobu přibližně 3 let. Ostatních 8 pacientů bylo léčeno na hyperamonémii vyvolanou jinými příčinami. Společnost rovněž zveřejnila informace z publikované literatury, které se týkaly dalších 4 pacientů léčených léčivou látkou obsaženou v přípravku Carbaglu.

Přípravek Carbaglu byl zkoumán rovněž na 57 pacientech (z nichž zhruba dvě třetiny byly novorozenci) s isovalerickou acidémií, methylmalonovou acidémií či propionovou acidémií, kteří byli léčeni přípravkem Carbaglu při hyperamonemických krizích.

Ve všech studiích byla hlavním měřítkem účinnosti změna hladiny amoniaku v krvi.

Jaký přínos přípravku Carbaglu byl prokázán v průběhu studií?

U pacientů s deficitem NAGS se po léčbě přípravkem Carbaglu hladiny amoniaku vrátily zpět na běžnou úroveň. Stav pacientů užívajících přípravek Carbaglu bylo možné udržet stabilní, aniž by bylo nutné uplatnit dietní omezení nebo použít další léky.

U pacientů s isovalerickou acidémií, methylmalonovou acidémií či propionovou acidémií se po léčbě přípravkem Carbaglu (v průměru po 5,5 dnech) rovněž dosáhlo snížení hladiny amoniaku v krvi.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Carbaglu?

Nejběžnějším vedlejším účinkem přípravku Carbaglu (zaznamenaným u 1 až 10 pacientů ze 100) je zvýšené pocení. Úplný seznam vedlejších účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Carbaglu je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Carbaglu by neměly užívat osoby s možnou přecitlivělostí (alergií) na kyselinu karglumovou nebo na kteroukoli další složku tohoto přípravku. Přípravek Carbaglu nesmí užívat kojící ženy.

Na základě čeho byl přípravek Carbaglu schválen?

Výbor CHMP dospěl k závěru, že přípravek Carbaglu byl účinný při snižování hladiny amoniaku v krvi na běžnou úroveň, a rozhodl, že přínosy přípravku Carbaglu převyšují jeho rizika. Výbor doporučil, aby přípravku Carbaglu bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

Další informace o přípravku Carbaglu

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Carbaglu platné v celé Evropské unii společnosti Orphan Europe dne 24. ledna 2003. Registrace je platná po neomezenou dobu.

Shrnutí stanovisek k přípravku Carbaglu vydaných Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations ([deficit NAGS](#): 18. října 2000, [isovalerická acidémie](#): 7. listopadu 2008; [methylmalonová acidémie](#): 7. listopadu 2008; [propionová acidémie](#): 7. listopadu 2008).

Plné znění Evropské veřejné zprávy o hodnocení (EPAR) pro přípravek Carbaglu je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports. Další informace o léčbě přípravkem Carbaglu naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo kontaktujte svého lékaře či lékárníka.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 05-2011.