



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR – sammendrag for offentligheden

Carbaglu

cargluminsyre

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Carbaglu. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om anvendelsesbetingelserne for Carbaglu.

Hvad er Carbaglu?

Carbaglu er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof cargluminsyre. Det leveres som opløselige tabletter. "Opløselig" betyder, at tabletterne kan opløses (blandes) i vand.

Hvad anvendes Carbaglu til?

Carbaglu anvendes til behandling af hyperammonæmi (forhøjet ammoniumniveau i blodet) hos patienter med de følgende stofskiftesygdomme:

- N-acetylglutamatsyntasemangel (NAGS). Patienter med denne kroniske sygdom mangler et leverenzym kaldet NAGS, som normalt er med til at nedbryde ammonium. Hvis enzymet ikke er til stede, kan ammonium ikke blive nedbrudt, og det hober sig op i blodet.
- Visse organiske acidæmier (isovalerianacidæmi, methylmalonacidæmi og propionacidæmi), hvor patienterne mangler visse enzymer, som er involveret i proteinstofskiftet.

Da antallet af patienter med disse sygdomme er lavt, betragtes de som "sjældne", og Carbaglu blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" på forskellige datoer (se nedenfor).

Lægemidlet udleveres kun efter recept.



Hvordan anvendes Carbaglu?

Behandling med Carbaglu bør indledes af en læge, som har erfaring i at behandle patienter med stofskiftesygdomme.

Hos patienter med NAGS-mangel kan behandlingen indledes allerede den første levedag, og lægemidlet anvendes igennem hele patientens levetid. Hos patienter med organisk acidæmi indledes behandlingen, når patienten oplever kritiske tilfælde af hyperammonæmi, og fortsættes, indtil tilfældene er ovre.

Den indledende dosis af Carbaglu bør være 100 mg pr. kilo legemsvægt, men en dosis på op til 250 mg/kg kan anvendes om nødvendigt. Dosen bør derefter justeres, så der opretholdes normale ammoniumniveauer i blodet. Tabletterne skal opløses (blandes) i en lille mængde vand, inden de gives til patienten. De kan nemt brækkes i to lige halvdele.

Hvordan virker Carbaglu?

Når ammonium ophobes i blodet, er det giftigt for kroppen og især for hjernen. Carbaglu har en struktur, der i høj grad ligner N-acetylglutamat, som aktiverer et enzym, der nedbryder ammonium. Carbaglu hjælper derfor med til at nedbryde ammonium, hvorved ammoniumniveauet i blodet og den giftige virkning reduceres.

Hvordan blev Carbaglu undersøgt?

Carbaglu blev undersøgt hos 20 patienter, hvoraf 12 havde NAGS-mangel og var blevet behandlet gennemsnitligt cirka tre år. De resterende otte patienter blev behandlet for hyperammonæmi af anden årsag. Virksomheden fremlagde også oplysninger fra den offentliggjorte faglitteratur om yderligere fire patienter, der blev behandlet med det aktive stof i Carbaglu.

Carbaglu blev desuden undersøgt hos 57 patienter (hvoraf cirka to tredjedele var nyfødte) med isovalerianeacidæmi, methylmalonacidæmi eller propionacidæmi, som blev behandlet med Carbaglu under kritiske tilfælde af hyperammonæmi.

I alle undersøgelserne blev virkningen hovedsagelig målt på ændringen i mængden af ammonium i blodet.

Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Carbaglu?

Hos patienter med NAGS-mangel blev ammoniumniveauerne bragt tilbage til normalområdet efter Carbaglu-behandling. Patienter, som fik Carbaglu, kunne holdes stabile, uden at der var behov for kostmæssige begrænsninger eller andre lægemidler.

Hos patienter med isovalerianeacidæmi, methylmalonacidæmi eller propionacidæmi reducerede Carbaglu desuden mængden af ammonium i blodet efter en gennemsnitlig behandlingstid på 5,5 dage.

Hvilken risiko er der forbundet med Carbaglu?

Den hyppigste bivirkning ved Carbaglu (som optræder hos mellem 1 og 10 patienter ud af 100) er øget svedtendens. Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger ved Carbaglu fremgår af indlægssedlen.

Carbaglu bør ikke anvendes af personer, der kan være overfølsomme (allergiske) over for cargininsyre eller et andre af indholdsstofferne. Carbaglu må ikke gives til ammende kvinder.

Hvorfor blev Carbaglu godkendt?

CHMP konkluderede, at Carbaglu var effektivt til at reducere ammoniumsniveauerne i blodet til normale niveauer, og besluttede, at fordelene ved Carbaglu opvejer risiciene. Udvalget anbefalede udstedelse af en markedsføringstilladelse for Carbaglu.

Andre oplysninger om Carbaglu:

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Carbaglu til Orphan Europe den 24. januar 2003. Markedsføringstilladelsen er gyldig på ubegrænset tid.

Sammendragene af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Carbaglu findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations) ([NAGS-mangel](#): den 18. oktober 2000; [isovalerianeacidæmi](#): den 7. november 2008; [methylmalonacidæmi](#): den 7. november 2008; [propionacidæmi](#): den 7. november 2008).

Den fuldstændige EPAR for Carbaglu findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Carbaglu, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 05-2011.