



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/450563/2021
EMA/H/C/004019

Ucedane (*Carglumsäure*)

Übersicht über Ucedane und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Ucedane und wofür wird es angewendet?

Ucedane ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Hyperammonämie (hohe Ammoniakkonzentrationen im Blut) bei Patienten mit den folgenden Stoffwechselerkrankungen:

- N-Acetylglutamatsynthase-Mangel (NAGS-Mangel). Patienten mit dieser lebenslangen Erkrankung fehlt ein Leberenzym, die sogenannte NAGS, die normalerweise beim Abbau von Ammoniak hilft. Ist das Enzym nicht vorhanden, kann Ammoniak nicht abgebaut werden und reichert sich im Blut an;
- einige organische Azidämien (Isovalerianazidämie, Methylmalonazidämie und Propionazidämie), bei denen den Patienten bestimmte Enzyme fehlen, die am Proteinstoffwechsel beteiligt sind.

Ucedane enthält den Wirkstoff Carglumsäure und ist ein „Generikum“. Dies bedeutet, dass Ucedane denselben Wirkstoff enthält und auf dieselbe Weise wie ein bereits in der Europäischen Union (EU) zugelassenes „Referenzarzneimittel“, Carbaglu, wirkt. Weitere Informationen über Generika finden Sie in dem Frage- und Antwort-Dokument [hier](#).

Wie wird Ucedane angewendet?

Ucedane ist als Tabletten zur Herstellung einer Suspension zum Einnehmen (200 mg) erhältlich, die in einer kleinen Menge Wasser aufzulösen (anzurühren) sind. Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung sollte von einem Arzt eingeleitet werden, der über Erfahrung in der Behandlung von Patienten mit Stoffwechselerkrankungen verfügt.

Bei Patienten mit NAGS-Mangel kann die Behandlung bereits am ersten Lebenstag begonnen werden und das Arzneimittel wird lebenslang angewendet. Bei Patienten mit organischen Azidämien wird die Behandlung begonnen, wenn der Patient eine Hyperammonämiekrise hat, und bis zum Ende der Krise fortgesetzt.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Die anfängliche Tagesdosis von Ucedane sollte 100 mg pro Kilogramm Körpergewicht betragen, aber es können bei Bedarf bis zu 250 mg/kg angewendet werden. Die Dosis sollte dann so angepasst werden, dass normale Ammoniakkonzentrationen im Blut aufrechterhalten werden.

Weitere Informationen zur Anwendung von Ucedane entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Ucedane?

Wenn sich Ammoniak im Blut anreichert, ist dies giftig für den Körper, insbesondere für das Gehirn. Der Wirkstoff in Ucedane, Carglumsäure, ist der Struktur von N-Acetylglutamat sehr ähnlich, das ein Enzym, das Ammoniak abbaut, aktiviert. Ucedane hilft dadurch beim Abbau von Ammoniak und senkt die Konzentration von Ammoniak im Blut und damit seine giftigen Wirkungen.

Wie wurde Ucedane untersucht?

Studien zu Nutzen und Risiken des Wirkstoffs im genehmigten Anwendungsgebiet wurden bereits für das Referenzarzneimittel, Carbaglu, durchgeführt und müssen daher für Ucedane nicht wiederholt werden.

Wie bei jedem Arzneimittel legte das Unternehmen Studien zur Qualität von Ucedane vor. Das Unternehmen hat ebenfalls eine Studie durchgeführt, die ergab, dass es mit dem Referenzarzneimittel bioäquivalent ist. Zwei Arzneimittel sind bioäquivalent, wenn sie die gleichen Wirkstoffspiegel im Körper bewirken und daher zu erwarten ist, dass sie die gleiche Wirkung haben.

Welcher Nutzen und welche Risiken sind mit Ucedane verbunden?

Da Ucedane ein Generikum und mit dem Referenzarzneimittel bioäquivalent ist, wird davon ausgegangen, dass es den gleichen Nutzen und die gleichen Risiken wie das Referenzarzneimittel aufweist.

Warum wurde Ucedane in der EU zugelassen?

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass gemäß den Anforderungen der EU für Ucedane der Nachweis erbracht wurde, dass es eine mit Carbaglu vergleichbare Qualität aufweist und mit Carbaglu bioäquivalent ist. Die Agentur war daher der Ansicht, dass wie bei Carbaglu der Nutzen von Ucedane gegenüber den festgestellten Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Ucedane ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Ucedane, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Weitere Informationen über Ucedane

Ucedane erhielt am 23. Juni 2017 eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Ucedane finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ucedane

Diese Übersicht wurde zuletzt im 08-2021 aktualisiert.