

**I. MELLÉKLET**  
**ALKALMAZÁSI ELŐÍRÁS**

## 1. A GYÓGYSZER MEGNEVEZÉSE

Carbaglu 200 mg diszpergálódó tablettá

## 2. MINŐSÉGI ÉS MENNYISÉGI ÖSSZETÉTEL

### 2.1 Általános leírás

200 mg kargluminsav tablettánként.

### 2.2 Minőségi és mennyiségi összetétel

A segédanyagok teljes listáját lásd a 6.1 pontban.

## 3. GYÓGYSZERFORMA

Diszpergálódó tablettá

A tabletták hosszúkás alakúak, fehér színűek, három metszett jelzéssel és vésettél az egyik oldalon.

A tablettá egyenlő adagokra osztható.

## 4. KLINIKAI JELLEMZŐK

### 4.1 Terápiás javallatok

A Carbaglu az

- N-acetil-glutamát-szintáz elsődleges hiánya miatt kialakult hyperammonaemia,
- az izovaleriánsav acidaemia miatt kialakult hyperammonaemia,
- a metilmalonát acidaemia miatt kialakult hyperammonaemia,
- a propionsav acidaemia miatt kialakult hyperammonaemia, kezelésére javallt.

### 4.2 Adagolás és alkalmazás

A Carbaglu-kezelés megkezdése csak anyagcsere-betegségek kezelésében jártas orvos felügyelete alatt javasolt.

#### Adagolás:

- N-acetil-glutamát-szintáz hiányban:

Klinikai tapasztalatok szerint a kezelés akár az első életnapon megkezdhető.

A gyógyszer javasolt kezdeti adagja 100 mg/kg/nap, mely szükség esetén 250 mg/kg/nap mennyiségig emelhető.

Az adag a későbbiekben egyedileg módosítandó, a normális plazma ammóniaszint fenntartása érdekében (lásd a 4.4 pontot).

Előfordulhat, hogy hosszú ideig nem kell az adagot a testtömeggyarapodásnak megfelelően módosítani, amennyiben a megfelelő anyagcsere-egyensúly fennáll; a napi adag egyéneként változik, 10 mg/kg és 100 mg/kg között.

#### *Kargluminsav-válaszkészség vizsgálata*

Hosszú távú kezelés bevezetése előtt javasolt a kargluminsavval szembeni egyéni válaszkészség felmérése.

Például:

- Kórnás állapotban lévő gyermek esetében 100-250 mg/kg/nap a kezdő adag. Az ammónia plazmakoncentrációját legalább minden gyógyszerbeadás előtt ellenőrizni kell; a Carbaglu-kezelés megkezdése után néhány órával az ammóniaszintnek normalizálnia kell.

- Közepesen súlyos hyperammonaemia esetén, 3 napon keresztül 100-200 mg/kg/nap kezdő adag alkalmazandó állandó fehérjebevitel mellett. Ezalatt az ammónia plazmakoncentrációját rendszeresen ellenőrizni kell (étkezések előtt, és étkezések után 1 órával); a normális ammónia plazmakoncentráció fenntartása érdekében az adag módosítható.

- Izovaleriánsav acidaemia, metilmalonát acidaemia és propionsav acidaemia esetén:

A kezelést az organikus acidaemiában szenvedő betegek esetében a hyperammonaemia alapján kell megkezdeni. A kezdő napi adag 100 mg/kg legyen, amely szükség esetén 250 mg/kg-ig emelhető. A normál plazma ammóniaszint fenntartásának érdekében ezt később egyénileg kell módosítani (lásd 4.4 pont).

#### Az alkalmazás módja

Ez a gyógyszer **KIZÁRÓLAG** szájon át alkalmazható (nyelés útján, vagy orrszonda és fecskendő használatával, ha szükséges).

A farmakokinetikai adatok és a klinikai tapasztalatok azt mutatták, hogy ajánlatos a napi dózist kettő, sőt akár négy részre osztani, s a gyógyszert étkezések, illetve etetések előtt adni. A tabletták félbetörése lehetővé teszi a legtöbb adagolási séma alkalmazását. Egyes esetekben, amennyiben a kezelőorvos által előírt adagolás szükségessé teszi, a tablettákat negyedelni is lehet.

A tablettát minimum 5-10 ml vízben diszpergálva azonnal le kell nyelni vagy nasogastricus szondán át, egy fecskendő segítségével, gyors mozdulattal kell bejuttatni.

A szuszpenzióknak enyhén savanykás íze van.

### **4.3 Ellenjavallatok**

A készítmény hatóanyagával vagy bármely segédanyagával szembeni túlérzékenység.  
A kargluminsav szedésének időtartama alatt a szoptatás kontraindikált (lásd 4.6 és 5.3 pont).

### **4.4 Különleges figyelmeztetések és az alkalmazással kapcsolatos óvintézkedések**

#### *Kezelés alatti megfigyelés*

Az ammónia és az aminosavak plazmaszintjét a normál tartományban kell tartani.

Mivel a kargluminsav biztonságosságával kapcsolatban nagyon kevés adat áll rendelkezésre, javasolt a máj- és vesefunkció, valamint a szív működés és hematológiai paraméterek rendszeres ellenőrzése.

#### *Táplálkozási vezérelvek*

Csökkenett fehérjetolerancia esetén fehérjemegszorításra és argininpótlásra lehet szükség.

### **4.5 Gyógyszerköölcsönhatások és egyéb interakciók**

Interakciós vizsgálatokat nem végeztek.

### **4.6 Terménykenység, terhesség és szoptatás**

#### Terhesség

A kargluminsav terhességre gyakorolt hatásáról nem áll rendelkezésre klinikai adat.

Az állatkísérletek eredményei minimális fejlődési toxicitásra utalnak (lásd 5.3 pont). Terhes nőknek csak nagy körültekintéssel írható fel.

#### Szoptatás

Bár a kargluminsav anyatejbe való kiválasztódása nem ismeretes, a szoptató patkányok tejében kimutatták (lásd 5.3 pont). Ezért a kargluminsav szedésének ideje alatt a szoptatás kontraindikált (lásd 4.3 pont).

#### 4.7 A készítmény hatásai a gépjárművezetéshez és gépek kezeléséhez szükséges képességekre

A készítménynek a gépjárművezetéshez és gépek üzemeltetéséhez kezeléséhez képességeket befolyásoló hatásait nem vizsgálták.

#### 4.8 Nemkívánatos hatások, mellékhatások

A jelentett mellékhatások felsorolása az alábbiakban szervrendszer és gyakoriság szerint kerül felsorolásra.

A gyakorisági kategóriák meghatározása: nagyon gyakori ( $\geq 1/10$ ); gyakori ( $\geq 1/100 - < 1/10$ ), nem gyakori ( $\geq 1/1000 - < 1/100$ ), ritka ( $\geq 1/10\ 000 - < 1/1000$ ), nagyon ritka ( $< 1/10\ 000$ ), nem ismert (a rendelkezésre álló adatokból nem állapítható meg).

Az egyes gyakorisági kategóriákon belül a mellékhatások csökkenő súlyosság szerint kerülnek megadásra.

- Nemkívánatos hatások N-acetil-glutamát-szintáz hiányban

Laboratóriumi és egyéb vizsgálatok eredményei	<i>Nem gyakori:</i> emelkedett transzamináz-értékek
A bőr és a bőr alatti szövet betegségei és tünetei	<i>Gyakori:</i> erős izzadás <i>Nem ismert:</i> kiütés

- Nemkívánatos hatások organikus acidaemiában

Szívbetegségek és a szívvel kapcsolatos tünetek	<i>Nem gyakori:</i> bradycardia
Emésztőrendszeri betegségek és tünetek	<i>Nem gyakori:</i> diarrhoea, hányás
Általános tünetek, az alkalmazás helyén fellépő reakciók	<i>Nem gyakori:</i> láz
A bőr és a bőr alatti szövet betegségei és tünetei	<i>Nem ismert:</i> kiütés

#### Feltételezett mellékhatások bejelentése

A gyógyszer engedélyezését követően lényeges a feltételezett mellékhatások bejelentése, mert ez fontos eszköze annak, hogy a gyógyszer előny/kockázat profilját folyamatosan figyelemmel lehessen kísérni. Az egészségügyi szakembereket kérjük, hogy jelentsék be a feltételezett mellékhatásokat a hatóság részére az [V. függelékben](#) található elérhetőségek valamelyikén keresztül.

#### 4.9 Túladagolás

Egy beteg esetében – aki 750 mg/kg/nap adagban kapott kargluminsavat – jelentkeztek mérgezésre utaló, szimpatomimetikus reakciónak megfelelő tünetek: tachycardia, profúz izzadás, fokozott légúti váladékképződés, a testhőmérséklet emelkedése, nyugtalanság. Az adag csökkentésével ezek a tünetek elmúltak.

## 5. FARMAKOLÓGIAI TULAJDONSÁGOK

### 5.1 Farmakodinámiás tulajdonságok

Farmakoterápiás csoport: Aminosavak és származékaik, ATC kód: A16A A05

### Hatásmechanizmus

A kargluminsav az N-acetil-glutamát szerkezeti analógja, ami a karbamil-foszfát-szintetáz (az ureaciklus első enzime) természetesen előforduló aktivátora.

A kargluminsavról *in vitro* kimutatták, hogy a májban található karbamil-foszfát-szintetázt aktiválja. Bár a karbamil-foszfát-szintetáz affinitása a kargluminsav iránt kisebb, mint az N-acetil-glutamát iránt, *in vivo* vizsgálatok azt igazolták, hogy a kargluminsav stimulálja a karbamil-foszfát-szintetázt, és patkányokban sokkal hatékonyabban előzi meg az ammónia intoxikációt, mint az N-acetil-glutamát. Ezt az alábbi megfigyelések magyarázhatják:

- i) a mitokondriális membrán könnyebben átjárható a kargluminsav, mint az N-acetil-glutamát számára
- ii) a kargluminsav ellenállóbb a sejt plazmában található, N-acetil-aminosavakat hidrolizáló enzimmel szemben, mint az N-acetil-glutamát.

### Farmakodinámiás hatások

Patkányokban több kísérletet végeztek, különböző vizsgálati körülmények között, melyeknek közös eleme az emelkedett ammóniaszint elérése volt (éhezés, fehérjementes vagy fehérjegyazdag étrend). A kargluminsav a vér ammóniaszintjét csökkentette, a vér és a vizelet karbamidszintjét emelte, míg a máj karbamil-foszfát-szintetáz aktivátorok koncentrációja szignifikánsan megemelkedett.

### Klinikai hatásosság és biztonságosság

Az N-acetil-glutamát-szintáz hiányban szenvedő betegek esetében kargluminsav adása a plazma ammóniaszintjének gyors normalizálódását eredményezte, általában 24 órán belül. Amennyiben a kezelést azelőtt bevezették, hogy maradandó agykárosodás alakult volna ki, a betegek normál növekedést és pszichomotoros fejlődést mutattak.

Organikus acidaemiában szenvedő betegek (újszülöttek és nem újszülöttek) esetében a kargluminsavval történő kezelés a plazma ammóniaszint gyors csökkenését idézte elő, csökkentve ezáltal a neurológiai szövődmények kockázatát.

## **5.2 Farmakokinetikai tulajdonságok**

A kargluminsav farmakokinetikai tulajdonságait egészséges férfi önkéntesek esetén vizsgálták, radioizotóppal jelölt, és jelöletlen termék használata mellett.

### *Felszívódás*

Egyszeri 100 mg/ttkg orális adag bevitelét követően becslések szerint a kargluminsavnak kb. 30%-a szívódik fel. Az előbbi adagolás mellett a 12 Carbaglu tablettát bevevő önkéntesnél a plazmakoncentráció csúcsértéke 3 óra után (medián; 2-4) 2,6 µg/ml volt (medián; 1,8-4,8).

### *Megoszlás*

A kargluminsav plazma eliminációs görbéje bifázikus; a beadást követő első 12 órában gyors fázisú, amelyet lassú fázis követ (terminális felezési idő legfeljebb 28 óra).

Az eritrocitákba nem diffundál. Fehérjekötést nem állapítottak meg.

### *Metabolizmus*

A kargluminsav egy része metabolizálódik. Feltételezések szerint a bélflóra hozzájárulhat a bomlási folyamat beindulásához, és így a molekula változó mértékű metabolizálódásához. A székletből kimutatott egyik metabolit a glutaminsav. A metabolitok a plazmában is kimutathatóak, a csúcsérték a beadástól számított 36-48 órával mérhető, és a kiürülésük nagyon lassú (a felezési idő kb. 100 óra). A kargluminsav metabolizmusának végterméke a szén-dioxid, amely a tüdőkön át eliminálódik.

### *Elimináció*

Egyszeri 100 mg/ttkg orális adag bevitelét követően a dózis 9%-a változatlan formában ürül a vizelettel, legfeljebb 60%-a pedig a széklettel.

A kargluminsav plazmakoncentrációját minden korcsoportban megmérték, újszülöttkortól serdülőkorig, különböző terápiás adagok (7- 122 mg/kg/nap) mellett. A mért értékek tartománya megegyezett az egészséges felnőttek esetében talált értékekkel, még az újszülötteknél is. Függetlenül a

napi adagtól, a kargluminsav plazmakoncentrációja 15 óra alatt lassan 100 ng/ml körüli értékre csökkent.

### **5.3 A preklinikai biztonságossági vizsgálatok eredményei**

Carbaglu 250, 500 és 1000 mg/kg-os, orális adagjával végzett biztonságossági farmakológiai vizsgálatok nem igazoltak a légzésre, a központi idegrendszerre és a cardiovascularis rendszerre kifejtett, statisztikailag szignifikáns hatást.

A Carbaglu-val végzett genotoxicitási vizsgálat sorozat sem *in vitro* (Ames-teszt, humán lymphocytá metáfázis analízis), sem *in vivo* (patkány nucleolus teszt) nem igazolt szignifikáns mutagén hatást.

Felnőtt patkányoknak egy alkalommal maximum 2800 mg/kg adagban orálisan, illetve 239 mg/kg adagban intravénásan adva a kargluminsav halálozást nem okozott, s szokatlan klinikai tünetek sem jelentkeztek. Kargluminsavat újszülött patkányoknak 18 napon keresztül, gyomorszondán át minden nap adva, valamint fiatal patkányoknak 26 héten keresztül naponta adva az alábbiakat állapították meg: 500 mg/kg/nap az az adag, melynél hatás még nem figyelhető meg (No Observed Effect Level, NOEL), és 1000 mg/kg/nap az az adag, amelynél nemkívánatos hatás még nem figyelhető meg (No Observed Adverse Effect Level, NOAEL).

A nők és férfiak termékenységre vonatkozóan nemkívánatos hatást nem figyeltek meg. Patkányokban és nyulakban nem találtak embriotoxicitást, foetotoxicitást és teratogenitást bizonyítékát olyan maternotoxikus dózisok esetén sem, amelyek a humán alanyokhoz képest a patkányokban ötvenszeres, a nyulakban pedig hétszeres expozíciót eredményeztek. A kargluminsav kiválasztódik a szoptató patkányok tejébe, és bár a fejlődési paramétereket ez nem befolyásolta, némi hatás megfigyelhető volt a testsúly/testsúly-gyarapodás tekintetében az 500 mg/kg/nap dózissal kezelt szoptató anyaállatok utódainál, és nagyobb mortalitás volt megfigyelhető a 2000 mg/kg/nap maternotoxikus dózissal kezelt anyaállatok utódainál. Az anyai szisztémás expozíció 500, illetve 2000 mg/kg/nap dózis esetén a várható humán expozíció huszonöt-, illetve hetvenszerese volt.

A kargluminsavval karcinogénitásra vonatkozó vizsgálatot mindeddig nem végeztek.

## **6. GYÓGYSZERÉSZETI JELLEMZŐK**

### **6.1 Segédanyagok felsorolása**

Mikrokristályos cellulóz  
nátrium-lauril-szulfát  
hipromellóz  
kroszkarmellóz-nátrium  
vízmentes koloid szilícium-dioxid  
nátrium-sztearil-fumarát

### **6.2 Inkompatibilitások**

Nem értelmezhető.

### **6.3 Felhasználhatósági időtartam**

36 hónap

A gyógyszer tartály első kinyitása után: 3 hónap

### **6.4 Különleges tárolási előírások**

Hűtőszekrényben (2°C – 8°C) tárolandó.

A tabletta tartályának első kinyitása után:  
Nem fagyasztható!  
Legfeljebb 30°C-on tárolandó.  
A nedvességtől való védelem érdekében a tartályt tartsa jól lezárva.

#### **6.5 Csomagolás típusa és kiszerelése**

5, 15 vagy 60 tablettát tartalmazó nagysűrűségű polietilén tartály, nedvesség megkötő betétet tartalmazó, polipropilén gyermekbiztonsági zárókupakkal lezárva.

Nem feltétlenül kerül mindegyik kiszerelés kereskedelmi forgalomba.

#### **6.6 A megsemmisítésre vonatkozó különleges óvintézkedések**

Nincsenek különleges előírások.

### **7. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY JOGOSULTJA**

Orphan Europe SARL  
Immeuble "Le Wilson"  
70 avenue du Général de Gaulle  
F-92800 Puteaux  
Franciaország

### **8. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY SZÁMA(I)**

EU/1/02/246/001 (15 diszpergálódó tablettá)  
EU/1/02/246/002 (60 diszpergálódó tablettá)  
EU/1/02/246/003 (5 diszpergálódó tablettá)

### **9. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY ELSŐ KIADÁSÁNAK/ MEGÚJÍTÁSÁNAK DÁTUMA**

A forgalomba hozatali engedély első kiadásának dátuma: 2003. január 24.  
A forgalomba hozatali engedély megújításának dátuma: 2008. május 20.

### **10. A SZÖVEG ELLENŐRZÉSÉNEK DÁTUMA**

A gyógyszerről részletes információ az Európai Gyógyszerügynökség (EMA) internetes honlapján (<http://www.ema.europa.eu/>) található.

## **II. MELLÉKLET**

- A. A GYÁRTÁSI TÉTELEK VÉGFELSZABADÍTÁSÁÉRT  
FELELŐS GYÁRTÓ**
- B. FELTÉTELEK VAGY KORLÁTOZÁSOK AZ ELLÁTÁS ÉS  
HASZNÁLAT KAPCSÁN**
- C. FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY EGYÉB  
FELTÉTELEI ÉS KÖVETELMÉNYEI**
- D. FELTÉTELEK VAGY KORLÁTOZÁSOK A GYÓGYSZER  
BIZTONSÁGOS ÉS HATÉKONY ALKALMAZÁSÁRA  
VONATKOZÓAN**



## **A. A GYÁRTÁSI TÉTELEK VÉGFELSZABADÍTÁSÁÉRT FELELŐS GYÁRTÓ**

A gyártási tételek végfelszabadításáért felelős gyártó neve és címe

Orphan Europe SARL  
Immeuble 'Le Wilson'  
70, Avenue du Général de Gaulle  
F-92800 Puteaux  
Franciaország

vagy

Orphan Europe SARL  
Eco River Parc  
30, rue des Peupliers  
F-92000 Nanterre  
Franciaország

Az érintett gyártási tétel végfelszabadításáért felelős gyártó nevét és címét a gyógyszer betegtájékoztatójának tartalmaznia kell.

## **B. FELTÉTELEK VAGY KORLÁTOZÁSOK AZ ELLÁTÁS ÉS HASZNÁLAT KAPCSÁN**

Korlátozott érvényű orvosi rendelvényhez kötött gyógyszer (Lásd I. Melléklet: Alkalmazási előírás, 4.2)

## **C. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY EGYÉB FELTÉTELEI ÉS KÖVETELMÉNYEI**

- **Időszakos gyógyszerbiztonsági jelentések**

Erre a készítményre az időszakos gyógyszerbiztonsági jelentéseket a 2001/83/EK irányelv 107c. cikkének (7) bekezdésében megállapított és az európai internetes gyógyszerportálon nyilvánosságra hozott uniós referencia időpontok listája (EURD lista), illetve annak bármely későbbi frissített változata szerinti követelményeknek megfelelően kell benyújtani.

## **D. FELTÉTELEK VAGY KORLÁTOZÁSOK A GYÓGYSZER BIZTONSÁGOS ÉS HATÉKONY ALKALMAZÁSÁRA VONATKOZÓAN**

- **Kockázatkezelési terv**

A forgalomba hozatali engedély jogosultja kötelezi magát, hogy a forgalomba hozatali engedély 1.8.2 moduljában leírt, jóváhagyott kockázatkezelési tervben, illetve annak jóváhagyott frissített verzióiban részletezett, kötelező farmakovigilanciai tevékenységeket és beavatkozásokat elvégzi.

A frissített kockázatkezelési terv benyújtandó a következő esetekben:

- ha az Európai Gyógyszerügynökség ezt indítványozza;
- ha a kockázatkezelési rendszerben változás történik, főként azt követően, hogy olyan új információ érkezik, amely az előny/kockázat profil jelentős változásához vezethet, illetve (a biztonságos gyógyszeralkalmazásra vagy kockázat-minimalizálásra irányuló) újabb, meghatározó eredmények születnek.

**III. MELLÉKLET**  
**CÍMKESZÖVEG ÉS BETEGTÁJÉKOZTATÓ**

## **A. CÍMKESZÖVEG**

**A KÜLSŐ CSOMAGOLÁSON ÉS A KÖZVETLEN CSOMAGOLÁSON FELTÜNTETENDŐ ADATOK**

**KÜLSŐ KARTONDOBOZ ÉS TABLETTATARTÁLY CÍMKE X 5 TABLETTA**

**1. A GYÓGYSZER MEGNEVEZÉSE**

Carbaglu 200 mg diszpergálódó tablettá  
kargluminsav

**2. HATÓANYAG(OK) MEGNEVEZÉSE**

200 mg kargluminsav tablettánként.

**3. SEGÉDANYAGOK FELSOROLÁSA**

**4. GYÓGYSZERFORMA ÉS TARTALOM**

5 diszpergálódó tablettá

**5. AZ ALKALMAZÁSSAL KAPCSOLATOS TUDNIVALÓK ÉS AZ ALKALMAZÁS MÓDJA(I)**

KIZÁRÓLAG szájon át történő alkalmazásra  
Használat előtt olvassa el a mellékelt betegtájékoztatót!

**6. KÜLÖN FIGYELMEZTETÉS, MELY SZERINT A GYÓGYSZERT GYERMEKEKTŐL ELZÁRVA KELL TARTANI**

A gyógyszer gyermekektől elzárva tartandó!

**7. TOVÁBBI FIGYELMEZTETÉS(EK), AMENNYIBEN SZÜKSÉGES**

**8. LEJÁRATI IDŐ**

Felhasználható { hónap / év }  
Az első felnyitás után 3 hónappal el kell dobn.  
Felnyitás dátuma:

**9. KÜLÖNLEGES TÁROLÁSI ELŐÍRÁSOK**

Hűtőszekrényben (2°C – 8°C) tárolandó.  
A gyógyszertartály első kinyitása után: nem fagyasztható, legfeljebb 30°C-on tárolandó.

A gyógyszer tartályát a nedvességtől való védelem érdekében jól lezárva kell tartani.

**10. KÜLÖNLEGES ÓVINTÉZKEDÉSEK A FEL NEM HASZNÁLT GYÓGYSZEREK VAGY AZ ILYEN TERMÉKEKBŐL KELETKEZETT HULLADÉKANYAGOK ÁRTALMATLANNÁ TÉTELÉRE, HA ILYENEKRE SZÜKSÉG VAN**

**11. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY JOGOSULTJÁNAK NEVE ÉS CÍME**

Orphan Europe SARL  
Immeuble "Le Wilson"  
70, Avenue du Général de Gaulle  
F-92800 Puteaux  
Franciaország

**12. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY SZÁMA(I)**

EU/1/02/246/003

**13. A GYÁRTÁSI TÉTEL SZÁMA**

Gy.sz.: {szám}

**14. A GYÓGYSZER ÁLTALÁNOS BESOROLÁSA RENDELHETŐSÉG SZEMPONTJÁBÓL**

Orvosi rendelvényhez kötött gyógyszer.

**15. AZ ALKALMAZÁSRA VONATKOZÓ UTASÍTÁSOK**

**16. BRAILLE ÍRÁSSAL FELTÜNTETETT INFORMÁCIÓK**

Carbaglu 200 mg

**17. EGYEDI AZONOSÍTÓ – 2D VONALKÓD**

Egyedi azonosítójú 2D vonalkóddal ellátva.

**18. EGYEDI AZONOSÍTÓ OLVASHATÓ FORMÁTUMA**

PC:  
SN:  
NN:

**A KÜLSŐ CSOMAGOLÁSON ÉS A KÖZVETLEN CSOMAGOLÁSON FELTÜNTETENDŐ ADATOK**

**KÜLSŐ KARTONDOBOZ ÉS GYÓGYSZERTARTÁLY CÍMKE X 15 TABLETTA**

**1. A GYÓGYSZER MEGNEVEZÉSE**

Carbaglu 200 mg diszpergálódó tablettá  
kargluminsav

**2. HATÓANYAG(OK) MEGNEVEZÉSE**

200 mg kargluminsav tablettánként.

**3. SEGÉDANYAGOK FELSOROLÁSA**

**4. GYÓGYSZERFORMA ÉS TARTALOM**

15 diszpergálódó tablettá

**5. AZ ALKALMAZÁSSAL KAPCSOLATOS TUDNIVALÓK ÉS AZ ALKALMAZÁS MÓDJA(I)**

KIZÁRÓLAG szájon át történő alkalmazásra  
Használat előtt olvassa el a mellékelt betegtájékoztatót!

**6. KÜLÖN FIGYELMEZTETÉS, MELY SZERINT A GYÓGYSZERT GYERMEKEKTŐL ELZÁRVA KELL TARTANI**

A gyógyszer gyermekektől elzárva tartandó!

**7. TOVÁBBI FIGYELMEZTETÉS(EK), AMENNYIBEN SZÜKSÉGES**

**8. LEJÁRATI IDŐ**

Felhasználható { hónap / év }  
Az első felnyitás után 3 hónappal el kell dobnia.  
Felnyitás dátuma:

**9. KÜLÖNLEGES TÁROLÁSI ELŐÍRÁSOK**

Hűtőszekrényben (2°C -8°C) tárolandó.

A gyógyszertartály első kinyitása után: nem fagyasztható, legfeljebb 30°C-on tárolandó.  
A nedvességtől való védelem érdekében a tartályt tartsa jól lezárva.

**10. KÜLÖNLEGES ÓVINTÉZKEDÉSEK A FEL NEM HASZNÁLT GYÓGYSZEREK VAGY AZ ILYEN TERMÉKEKBŐL KELETKEZETT HULLADÉKANYAGOK ÁRTALMATLANNÁ TÉTELÉRE, HA ILYENEKRE SZÜKSÉG VAN**

**11. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY JOGOSULTJÁNAK NEVE ÉS CÍME**

Orphan Europe SARL  
Immeuble "Le Wilson"  
70, Avenue du Général de Gaulle  
F-92800 Puteaux  
Franciaország

**12. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY SZÁMA(I)**

EU/1/02/246/001

**13. A GYÁRTÁSI TÉTEL SZÁMA**

Gy.sz.: {szám}

**14. A GYÓGYSZER ÁLTALÁNOS BESOROLÁSA RENDELHETŐSÉG SZEMPONTJÁBÓL**

Orvosi rendelvényhez kötött gyógyszer.

**15. AZ ALKALMAZÁSRA VONATKOZÓ UTASÍTÁSOK**

**16. BRAILLE ÍRÁSSAL FELTÜNTETETT INFORMÁCIÓK**

Carbaglu 200 mg

**17. EGYEDI AZONOSÍTÓ – 2D VONALKÓD**

Egyedi azonosítójú 2D vonalkóddal ellátva.

**18. EGYEDI AZONOSÍTÓ OLVASHATÓ FORMÁTUMA**

PC:  
SN:  
NN:

**A KÜLSŐ CSOMAGOLÁSON ÉS A KÖZVETLEN CSOMAGOLÁSON FELTÜNTETENDŐ ADATOK**

**KÜLSŐ KARTONDOBOZ ÉS GYÓGYSZERTARTÁLY CÍMKE X 60 TABLETTA**

**1. A GYÓGYSZER MEGNEVEZÉSE**

Carbaglu 200 mg diszpergálódó tablettá  
kargluminsav

**2. HATÓANYAG(OK) MEGNEVEZÉSE**

200 mg kargluminsav tablettánként.

**3. SEGÉDANYAGOK FELSOROLÁSA**

**4. GYÓGYSZERFORMA ÉS TARTALOM**

60 diszpergálódó tablettá

**5. AZ ALKALMAZÁSSAL KAPCSOLATOS TUDNIVALÓK ÉS AZ ALKALMAZÁS MÓDJA(I)**

KIZÁRÓLAG szájon át történő alkalmazásra  
Használat előtt olvassa el a mellékelt betegtájékoztatót!

**6. KÜLÖN FIGYELMEZTETÉS, MELY SZERINT A GYÓGYSZERT GYERMEKEKTŐL ELZÁRVA KELL TARTANI**

A gyógyszer gyermekektől elzárva tartandó!

**7. TOVÁBBI FIGYELMEZTETÉS(EK), AMENNYIBEN SZÜKSÉGES**

**8. LEJÁRATI IDŐ**

Felhasználható { hónap / év }  
Az első felnyitás után 3 hónappal el kell dobnia.  
Felnyitás dátuma:

**9. KÜLÖNLEGES TÁROLÁSI ELŐÍRÁSOK**

Hűtőszekrényben (2°C -8°C) tárolandó.

A gyógyszer-tartály első kinyitása után: nem fagyasztható, legfeljebb 30°C-on tárolandó.  
A nedvességtől való védelem érdekében a tartályt tartsa jól lezárva.



**10. KÜLÖNLEGES ÓVINTÉZKEDÉSEK A FEL NEM HASZNÁLT GYÓGYSZEREK VAGY AZ ILYEN TERMÉKEKBŐL KELETKEZETT HULLADÉKANYAGOK ÁRTALMATLANNÁ TÉTELÉRE, HA ILYENEKRE SZÜKSÉG VAN**

**11. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY JOGOSULTJÁNAK NEVE ÉS CÍME**

Orphan Europe SARL  
Immeuble "Le Wilson"  
70, Avenue du Général de Gaulle  
F-92800 Puteaux  
Franciaország

**12. A FORGALOMBA HOZATALI ENGEDÉLY SZÁMA(I)**

EU/1/02/246/002

**13. A GYÁRTÁSI TÉTEL SZÁMA**

Gy.sz.: {szám}

**14. A GYÓGYSZER ÁLTALÁNOS BESOROLÁSA RENDELHETŐSÉG SZEMPONTJÁBÓL**

Orvosi rendelvényhez kötött gyógyszer.

**15. AZ ALKALMAZÁSRA VONATKOZÓ UTASÍTÁSOK**

**16. BRAILLE ÍRÁSSAL FELTÜNTETETT INFORMÁCIÓK**

Carbaglu 200 mg

**17. EGYEDI AZONOSÍTÓ – 2D VONALKÓD**

Egyedi azonosítójú 2D vonalkóddal ellátva.

**18. EGYEDI AZONOSÍTÓ OLVASHATÓ FORMÁTUMA**

PC:  
SN:  
NN:

## **B. BETEGTÁJÉKOZTATÓ**

## BETEGTÁJÉKOZTATÓ: INFORMÁCIÓK A FELHASZNÁLÓ SZÁMÁRA

### Carbaglu 200 mg diszpergálódó tablettá Kargluminsav

**Mielőtt elkezdené alkalmazni ezt a gyógyszert, olvassa el figyelmesen az alábbi betegtájékoztatót.**

- Tartsa meg a betegtájékoztatót, mert a benne szereplő információkra a későbbiekben is szüksége lehet.
- További kérdéseivel forduljon orvosához vagy gyógyszerészéhez.
- Ezt a gyógyszert az orvos Önnek írta fel. Ne adja át a készítményt másnak, mert számára ártalmas lehet még abban az esetben is, ha tünetei az Önéhez hasonlóak.
- Ha bármely mellékhatás súlyossá válik, vagy ha a betegtájékoztatóban felsorolt mellékhatásokon kívül egyéb tünetet észlel, kérjük, értesítse orvosát vagy gyógyszerészét.

#### **A betegtájékoztató tartalma:**

1. Milyen típusú gyógyszer a Carbaglu és milyen betegségek esetén alkalmazható?
2. Tudnivalók a Carbaglu alkalmazása előtt
3. Hogyan kell alkalmazni a Carbaglu-t?
4. Lehetséges mellékhatások
5. Hogyan kell a Carbaglu-t tárolni?
6. További információk

#### **1. MILYEN TÍPUSÚ GYÓGYSZER A CARBAGLU ÉS MILYEN BETEGSÉGEK ESETÉN ALKALMAZHATÓ?**

A Carbaglu segíti a plazma magas ammóniaszintjének (emelkedett ammóniaszint a vérben) csökkentését. Az ammónia különösen mérgező az agy számára, és súlyos esetben akár csökkent tudatállapothoz és kómához is vezethet.

A magas ammóniaszint kialakulhat

- egy specifikus, májban található enzim, az N-acetil-glutamát-szintáz hiánya miatt. Azok a betegek, akik ebben a ritka rendellenességben szenvednek, nem képesek a fehérjefogyasztás után a szervezetükben keletkező nitrogénfelesleg eltávolítására.

Ez a rendellenesség a beteg egész élete során megmarad, így a kezelésre élethossziglan szükség van.

- izovaleriánsav acidémia, metilmalonát acidémia vagy propionsav acidémia miatt. Azok a betegek, akik e betegségek valamelyikében szenvednek, a hiperammonémiás krízis alatt igényelnek kezelést.

#### **2. TUDNIVALÓK A CARBAGLU ALKALMAZÁSA ELŐTT**

##### **Ne alkalmazza a Carbaglu-t**

Ne alkalmazza a Carbaglu-t, ha túlérzékeny (allergiás) a kargluminsavval vagy a készítmény bármely segédanyagával szemben.

Ne alkalmazza a Carbaglu-t szoptatás alatt.

##### **A Carbaglu fokozott elővigyázatossággal alkalmazható**

A Carbaglu-kezelés megkezdése csak anyagcsere-betegségek kezelésében jártas orvos felügyelete alatt javasolt.

Hosszú távú kezelés megkezdése előtt kezelőorvosa vizsgálni fogja az Ön egyéni válaszkészségét a kargluminsavval szemben.

Az adagot egyedileg kell meghatározni a normális plazma ammóniaszint fenntartása érdekében.

Lehetséges, hogy kezelőorvosa arginin táplálék-kiegészítést ír elő Önnek vagy szigorítja a fehérjebevitelt.

Az Ön egészségi állapotának és a kezelés kimenetelének követése érdekében kezelőorvosa rendszeres máj-, vese-, szív- és vérvizsgálatokat végezhet.

#### **A kezelés ideje alatt szedett egyéb gyógyszerek**

Feltétlenül tájékoztassa kezelőorvosát vagy gyógyszerészét a jelenleg vagy nemrégiben szedett egyéb gyógyszereiről, beleértve a vény nélkül kapható készítményeket is.

#### **A Carbaglu egyidejű alkalmazása bizonyos ételekkel vagy italokkal**

A Carbaglu-t szájon át kell alkalmazni, étkezések, illetve táplálások előtt.

A tablettát minimum 5-10 milliliter vízben fel kell oldani, és azonnal be kell venni. A szuszpenzióknak enyhén savanykás íze van.

#### **Terhesség és szoptatás**

A Carbaglu-nak a terhességre és a születendő gyermekre gyakorolt hatásai nem ismeretesek. Ha terhes, vagy terhességet tervez, kérje ki orvosa tanácsát.

A kargluminsav kiválasztódását az anyatejbe még nem vizsgálták. Mivel azonban a szoptató patkányok tejében kimutatták a kargluminsavat, amely a szoptatott kölykökre toxikus hatást fejthet ki, ne szoptassa gyermekét, amennyiben Carbaglu-t szed.

#### **A készítmény hatásai a gépjárművezetéshez és gépek kezeléséhez szükséges képességekre**

Nem ismeretes, hogy a készítmény befolyásolná a gépjárművezetéshez és gépek kezeléséhez szükséges képességeket.

### **3. HOGYAN KELL ALKALMAZNI A CARBAGLU-T?**

A Carbaglu-t mindig az orvos által elmondottaknak megfelelően alkalmazza. Amennyiben nem biztos az adagolást illetően, kérdezze meg orvosát vagy gyógyszerészét.

*A készítmény szokásos adagja:*

- a kezdő napi adag általában testtömeg-kilogrammonként 100 mg, de legfeljebb 250 mg/testtömeg-kilogramm (például, 10 kilogramm súly esetén a napi adag 1 gramm vagy 5 tablettá).
- az N-acetil-glutamát-szintáz hiányban szenvedő betegek hosszú távú kezelése esetén a napi adag általában testtömeg-kilogrammonként 10 és 100 mg között van.

Kezelőorvosa fogja meghatározni az Önnek megfelelő adagot annak érdekében, hogy a vérplazma ammóniaszintje a normális tartományban maradjon.

A Carbaglu-t KIZÁRÓLAG szájon át vagy a gyomorba vezetett táplálósondán át (szükség esetén fecskendő használatával) szabad alkalmazni.

Ha a beteg a magas ammóniaszint (hiperammonémia) miatt kómában van, a Carbaglu-t tápláláshoz használt orrszondán át egy fecskendő segítségével gyors mozdulattal kell bejuttatni.

#### **Ha az előírtnál több Carbaglu-t vett be**

Forduljon kezelőorvosához, gyógyszerészéhez.

#### **Ha elfelejtette bevenni a Carbaglu-t**

Ne vegyen be kétszeres adagot a kihagyott adag pótlására.

#### **Ha idő előtt abbahagyja a Carbaglu szedését**

Ne hagyja abba a Carbaglu szedését anélkül, hogy tájékoztatná orvosát.

Ha bármilyen további kérdése van a készítmény alkalmazásával kapcsolatban, kérdezze meg orvosát vagy gyógyszerészét.

#### 4. LEHETSÉGES MELLÉKHATÁSOK

Mint minden gyógyszer, így a Carbaglu is okozhat mellékhatásokat, amelyek azonban nem mindenkinél jelentkeznek.

A következő mellékhatásokat jelentették az alábbiak szerint: nagyon gyakori (10 beteg közül legalább egynél előfordult), gyakori (100 beteg közül legalább egynél előfordult), nem gyakori (1000 beteg közül legalább egynél előfordult), ritka (10 000 beteg közül legalább egynél előfordult), nagyon ritka (100 000 beteg közül legalább egynél előfordult) és nem ismert (a rendelkezésekre álló adatokból nem állapítható meg).

- *gyakori*: erős izzadás
- *nem gyakori*: lelassult szívverés (bradikardia), hasmenés, láz, emelkedett májenzimértékek, hányás
- *nem ismert*: kiütés

Ha bármely mellékhatás súlyossá válik, vagy ha a betegtájékoztatóban felsorolt mellékhatásokon kívül egyéb tünetet észlel, kérjük, értesítse kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

##### **Mellékhatások bejelentése**

Ha Önnél bármilyen mellékhatás jelentkezik, tájékoztassa kezelőorvosát, vagy gyógyszerészét vagy a gondozását végző egészségügyi szakembert. Ez a betegtájékoztatóban fel nem sorolt bármilyen lehetséges mellékhatásra is vonatkozik. A mellékhatásokat közvetlenül a hatóság részére is bejelentheti az [V. függelékben](#) található elérhetőségeken keresztül. A mellékhatások bejelentésével Ön is hozzájárulhat ahhoz, hogy minél több információ álljon rendelkezésre a gyógyszer biztonságos alkalmazásával kapcsolatban.

#### 5. HOGYAN KELL A CARBAGLU-T TÁROLNI?

A gyógyszer gyermekektől elzárva tartandó!

A tablettá tartályán feltüntetett lejárati idő után ne alkalmazza a Carbaglu-t.

##### **Hűtőszekrényben (2°C -8°C) tárolandó.**

A tartály első kinyitása után: nem fagyasztható, legfeljebb 30°C-on tárolandó.

A nedvességtől való védelem érdekében a tartályt tartsa jól lezárva.

A felnyitás dátumát írja rá a tablettá tartályára. Az első felnyitás után 3 hónappal el kell dobni.

#### 6. TOVÁBBI INFORMÁCIÓK

##### **Mit tartalmaz a Carbaglu**

- A készítmény hatóanyaga a kargluminsav. Tablettánként 200 mg kargluminsavat tartalmaz.
- Egyéb összetevők: mikrokristályos cellulóz, nátrium-lauril-szulfát, hipromellóz, kroszkarmellóz-nátrium, vízmentes koloid szilícium-dioxid, nátrium-sztearil-fumarát.

##### **Milyen a Carbaglu készítmény külleme és mit tartalmaz a csomagolás**

A 200 mg-os Carbaglu tablettá hosszúkás alakú tablettá, 4 mélynyomattal és 3 törésvonallal az egyik oldalánegy.

A Carbaglu 5, 15 és 60 db tablettát tartalmazó, gyermekbiztonsági zárókupakkal ellátott műanyag tartályban kerül forgalomba.

**A forgalomba hozatali engedély jogosultja**

Orphan Europe SARL  
Immeuble “Le Wilson”  
70, Avenue du Général de Gaulle  
F-92800 Puteaux  
Franciaország  
Tel: + 33 1 4773 6458  
Fax: + 33 1 4900 1800

**Gyártó**

Orphan Europe SARL  
Immeuble “Le Wilson”  
70, Avenue du Général de Gaulle  
F-92800 Puteaux  
Franciaország

vagy

Orphan Europe SARL  
Eco River Parc  
30, rue des Peupliers  
F-92000 Nanterre  
Franciaország

A készítményhez kapcsolódó további kérdéseivel forduljon a forgalomba hozatali engedély jogosultjának helyi képviselőjéhez:

**Belgique/België/Belgien**

Recordati  
Tél/Tel: +32 2 46101 36

**Lietuva**

Recordati AB.  
Tel: + 46 8 545 80 230  
Švedija

**България**

Orphan Europe SARL  
Тел.: +33 (0)1 47 73 64 58  
Франция

**Luxembourg/Luxemburg**

Recordati  
Tél/Tel: +32 2 46101 36  
Belgique/Belgien

**Česká republika**

Orphan Europe SARL  
Tel: +33 (0)1 47 73 64 58  
Francie

**Magyarország**

Orphan Europe SARL  
Tel: +33 (0)1 47 73 64 58  
Franciaország

**Danmark**

Recordati AB.  
Tlf : +46 8 545 80 230  
Sverige

**Malta**

Orphan Europe SARL  
Tel: +33 1 47 73 64 58  
Francia

**Deutschland**

Orphan Europe (Germany) GmbH  
Tel: +49 731 140 554 0

**Nederland**

Recordati  
Tel: +32 2 46101 36  
België

**Eesti****Norge**

Recordati AB.  
Tel: + 46 8 545 80 230  
Rootsi

**Ελλάδα**  
Recordati Hellas  
Τηλ: +30 210 6773822

**España**  
Orphan Europe S.L.U.  
Tel: + 34 91 659 28 90

**France**  
Orphan Europe SARL  
Tél: +33 (0)1 47 73 64 58

**Hrvatska**  
Orphan Europe SARL  
Tél: +33 (0)1 47 73 64 58  
Francuska

**Ireland**  
Orphan Europe (UK) Ltd.  
Tel: +44 1491 414333  
United Kingdom

**Ísland**  
Recordati AB.  
Simi:+46 8 545 80 230  
Svíþjóð

**Italia**  
Orphan Europe (Italy) Srl  
Tel: +39 02 487 87 173

**Κύπρος**  
Orphan Europe SARL  
Τηλ : +33 1 47 73 64 58  
Γαλλία

**Latvija**  
Recordati AB.  
Tel: + 46 8 545 80 230  
Zviedrija

Recordati AB.  
Tlf : +46 8 545 80 230  
Sverige

**Österreich**  
Orphan Europe (Germany) GmbH  
Tel: +49 731 140 554 0  
Deutschland

**Polska**  
Orphan Europe SARL  
Tel: +33 (0)1 47 73 64 58  
Francja

**Portugal**  
Jaba Recordati S.A.  
Tel: +351 21 432 95 00

**România**  
Orphan Europe SARL  
Tel: +33 (0)1 47 73 64 58  
Franța

**Slovenija**  
Orphan Europe SARL  
Tel: +33 (0)1 47 73 64 58  
Francija

**Slovenská republika**  
Orphan Europe SARL  
Tel: +33 (0)1 47 73 64 58  
Francija

**Suomi/Finland**  
Recordati AB.  
Puh/Tel : +46 8 545 80 230  
Sverige

**Sverige**  
Recordati AB.  
Tel : +46 8 545 80 230

**United Kingdom**  
Orphan Europe (UK) Ltd.  
Tel: +44 (0)1491 414333

**A betegtájékoztató engedélyezésének dátuma {dátum}.**

A gyógyszeréről részletes információ, illetve ritka betegségekről és azok kezeléséről szóló honlapok címei az Európai Gyógyszerügynökség internetes honlapján (<http://www.ema.europa.eu/>) található.