



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Περίληψη EPAR για το κοινό

---

# Carbaglu

## καργλουμινικό οξύ

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Carbaglu. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε το φάρμακο προτού διατυπώσει τη θετική της γνώμη για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, καθώς και τις συστάσεις της σχετικά με τους όρους χρήσης του Carbaglu.

### Τι είναι το Carbaglu;

Το Carbaglu είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία καργλουμινικό οξύ και διατίθεται σε μορφή διασπειρόμενων δισκίων. «Διασπειρόμενα» είναι τα δισκία που διαλύονται (αναμειγνύονται) σε νερό.

### Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Carbaglu;

Το Carbaglu χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της υπεραμμωναιμίας (υψηλά επίπεδα αμμωνίας στο αίμα) σε ασθενείς με τις ακόλουθες μεταβολικές νόσους:

- ανεπάρκεια Ν-ακετυλογλουταμινικής συνθάσης (NAGS). Οι ασθενείς με τη χρόνια αυτή νόσο παρουσιάζουν έλλειψη ενός ενζύμου που ονομάζεται NAGS, το οποίο φυσιολογικά συμβάλλει στη διάσπαση της αμμωνίας. Σε περίπτωση που το ένζυμο δεν υπάρχει, τότε δεν είναι εφικτή η διάσπαση της αμμωνίας με αποτέλεσμα τη συσσώρευσή της στο αίμα.
- ορισμένες οργανικές οξυαιμίες (ισοβαλερική οξυαιμία, μεθυλμαλονική οξυαιμία και προπιονική οξυαιμία) όπου ο ασθενείς παρουσιάζουν έλλειψη ορισμένων ενζύμων που συμμετέχουν στον μεταβολισμό των πρωτεϊνών.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών που πάσχουν από τις ασθένειες αυτές και, άρα, της σπανιότητάς τους, το Carbaglu χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) σε διάφορες ημερομηνίες (βλέπε κατωτέρω).

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.



## **Πώς χρησιμοποιείται το Carbaglu;**

Η θεραπεία με Carbaglu πρέπει να αρχίζει υπό την επίβλεψη ιατρού με πείρα στη θεραπεία μεταβολικών νόσων.

Στους ασθενείς με ανεπάρκεια NAGS, η θεραπεία μπορεί να ξεκινήσει από την πρώτη κιόλας ημέρα ζωής και το φάρμακο χορηγείται στον ασθενή εφ'όρου ζωής. Στους ασθενείς με οργανικές οξυαιμίες, η θεραπεία αρχίζει όταν ο ασθενής παθαίνει κρίση υπεραμμωνιαμίας και συνεχίζεται έως ότου περάσει η κρίση.

Η αρχική ημερήσια δόση του Carbaglu πρέπει να είναι 100 mg ανά κιλό σωματικού βάρους, αλλά μπορούν να χορηγηθούν μέχρι 250 mg ανά κιλό σωματικού βάρους εφόσον κρίνεται απαραίτητο. Η δόση αυτή πρέπει στη συνέχεια να προσαρμόζεται ούτως ώστε να διατηρούνται φυσιολογικά επίπεδα αμμωνίας στο αίμα. Τα δισκία πρέπει να διαλύονται (αναμειγνύονται) σε μικρή ποσότητα νερού προτού χορηγηθούν στον ασθενή. Τα δισκία διασπώνται εύκολα σε δύο ίσα μέρη.

## **Πώς δρα το Carbaglu;**

Όταν η αμμωνία συσσωρεύεται στο αίμα αποβαίνει τοξική για τον οργανισμό και ιδίως για τον εγκέφαλο. Η δομή του Carbaglu είναι παρόμοια με αυτήν της N-ακετυλογλουταμίνης, η οποία ενεργοποιεί ένα ένζυμο που διασπά την αμμωνία. Συνεπώς, το Carbaglu συμβάλλει στη διάσπαση της αμμωνίας μειώνοντας τα επίπεδά της στο αίμα και κατ' επέκταση την τοξική της επίδραση.

## **Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Carbaglu;**

Το Carbaglu μελετήθηκε σε 20 ασθενείς, εκ των οποίων οι 12 έπασχαν από ανεπάρκεια NAGS και τους χορηγήθηκε αγωγή για περίπου τρία έτη κατά μέσο όρο. Στους υπόλοιπους οκτώ ασθενείς χορηγήθηκε αγωγή για υπεραμμωνιαμία άλλης αιτιολογίας. Επίσης, η εταιρεία υπέβαλε στοιχεία από τη δημοσιευμένη βιβλιογραφία σχετικά με τέσσερις άλλους ασθενείς στους οποίους χορηγήθηκε αγωγή με τη δραστική ουσία του Carbaglu.

Το Carbaglu μελετήθηκε επίσης σε 57 ασθενείς (περίπου τα δύο τρίτα ήταν νεογέννητα) με ισοβαλερική οξυαιμία, μεθυλμαλονική οξυαιμία ή προποιονική οξυαιμία, στους οποίους χορηγήθηκε αγωγή με Carbaglu κατά τη διάρκεια των κρίσεων υπεραμμωνιαμίας.

Σε όλες τις μελέτες, ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η αλλαγή των επιπέδων αμμωνίας στο αίμα.

## **Ποιο είναι το όφελος του Carbaglu σύμφωνα με τις μελέτες;**

Στους ασθενείς με ανεπάρκεια NAGS, τα επίπεδα αμμωνίας ομαλοποιήθηκαν μετά την έναρξη της θεραπείας με Carbaglu. Η κατάσταση των ασθενών στους οποίους χορηγήθηκε το Carbaglu παρέμεινε σταθερή χωρίς να χρειαστούν περιορισμοί στη διατροφή ή στη λήψη άλλων φαρμάκων.

Στους ασθενείς με ισοβαλερική οξυαιμία, μεθυλμαλονική οξυαιμία ή προποιονική οξυαιμία, το Carbaglu επέφερε επίσης μείωση των επιπέδων αμμωνίας στο αίμα, μετά από 5,5 ημέρες θεραπείας κατά μέσο όρο.

## **Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Carbaglu;**

Η συχνότερη ανεπιθύμητη ενέργεια του Carbaglu (εμφανίζεται σε 1 έως 10 στους 100 ασθενείς) είναι η αυξημένη εφίδρωση. Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν για το Carbaglu περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Carbaglu δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που ενδέχεται να παρουσιάσουν υπερευαισθησία (αλλεργία) στο καργλουμινικό οξύ ή σε οποιοδήποτε άλλο συστατικό του φαρμάκου. Το Carbaglu δεν πρέπει να χορηγείται σε γυναίκες που θηλάζουν.

## **Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Carbaglu;**

Η CHMP έκρινε ότι το Carbaglu αποδείχθηκε αποτελεσματικό στη μείωση της συγκέντρωσης αμμωνίας στο αίμα σε φυσιολογικά επίπεδα και έκρινε ότι τα οφέλη του Carbaglu υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό. Η επιτροπή εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Carbaglu.

## **Λοιπές πληροφορίες για το Carbaglu:**

Στις 24 Ιανουαρίου 2003, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, στην Orphan Europe για το Carbaglu. Η άδεια κυκλοφορίας ισχύει επ' αόριστον.

Οι περιλήψεις των γνωμών της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Carbaglu διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations) ([ανεπάρκεια NAGS](#): 18 Οκτωβρίου 2000, [ισοβαλερική οξυαιμία](#): 7 Νοεμβρίου 2008, [μεθυλμαλονική οξυαιμία](#): 7 Νοεμβρίου 2008, [προπιονική οξυαιμία](#): 7 Νοεμβρίου 2008).

Η πλήρης EPAR του Carbaglu διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_Public\\_Assessment\\_Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Carbaglu, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην ευρωπαϊκή δημόσια έκθεση αξιολόγησης) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 05-2011.