



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ucedane (καργλουμινικό οξύ)

Ανασκόπηση του Ucedane και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Ucedane και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Ucedane είναι φάρμακο που 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 ηπατικού ενζύμου που ονομάζεται NAGS, το οποίο υπό κανονικές συνθήκες βοηθά στη διάσπαση της αμμωνίας. Εάν δεν υπάρχει αυτό το ένζυμο, η αμμωνία δεν μπορεί να διασπαστεί και συσσωρεύεται στο αίμα.
- ορισμένες οργανικές οξυαιμίες (ισοβαλερική οξυαιμία, μεθυλμαλονική οξυαιμία και προπιονική οξυαιμία) όπου οι ασθενείς παρουσιάζουν έλλειψη ορισμένων ενζύμων που συμβάλλουν στον μεταβολισμό των πρωτεϊνών.

Το Ucedane περιέχει τη δραστική ουσία καργλουμινικό οξύ και είναι «γενόσημο φάρμακο». Αυτό σημαίνει ότι το Ucedane περιέχει την ίδια δραστική ουσία και δρα κατά τον ίδιο τρόπο με το «φάρμακο αναφοράς» που είναι ήδη εγκεκριμένο στην Ευρωπαϊκή Ένωση (ΕΕ) και ονομάζεται Carbaglu. Περισσότερες πληροφορίες για τα γενόσημα φάρμακα περιέχονται στο κείμενο ερωτήσεων-απαντήσεων που διατίθεται [εδώ](#).

Πώς χρησιμοποιείται το Ucedane;

Το Ucedane διατίθεται υπό μορφή διασπειρώμενων δισκίων (200 mg) τα οποία πρέπει να διασπείρονται (αναμειγνύονται) σε μικρή ποσότητα νερού. Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με πείρα στη θεραπεία ασθενών με μεταβολικές νόσους.

Σε ασθενείς με ανεπάρκεια NAGS, η θεραπεία μπορεί να ξεκινήσει από την πρώτη ημέρα της ζωής και το φάρμακο χρησιμοποιείται για ολόκληρη τη ζωή του ασθενούς. Στους ασθενείς με οργανικές οξυαιμίες, η θεραπεία ξεκινά όταν ο ασθενής αντιμετωπίζει κρίση υπεραμμωναιμίας και συνεχίζεται έως ότου παρέλθει η κρίση.



Η αρχική ημερήσια δόση του Ucedane πρέπει να είναι 100 mg ανά κιλό σωματικού βάρους, αλλά μπορεί να χορηγηθεί και δόση μέχρι 250 mg/kg αν κριθεί απαραίτητο. Στη συνέχεια, η δόση πρέπει να προσαρμόζεται προκειμένου να διατηρούνται τα φυσιολογικά επίπεδα αμμωνίας στο αίμα.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Ucedane, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Ucedane;

Όταν η αμμωνία συσσωρεύεται στο αίμα, είναι τοξική για τον οργανισμό και ιδίως για τον εγκέφαλο. Η δραστική ουσία του Ucedane, το καργλουμινικό οξύ, έχει παρόμοια δομή με την Ν-ακετυλογλουταμίνη, η οποία ενεργοποιεί ένα ένζυμο που διασπά την αμμωνία. Συνεπώς, το Ucedane συμβάλλει στη διάσπαση της αμμωνίας, μειώνοντας τα επίπεδά της στο αίμα καθώς και την τοξική της επίδραση.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Ucedane;

Έχουν ήδη πραγματοποιηθεί μελέτες για το φάρμακο αναφοράς Carbaglu προκειμένου να καταδειχθούν τα οφέλη και οι κίνδυνοι της δραστικής ουσίας για την εγκεκριμένη ένδειξη και, ως εκ τούτου, δεν χρειάζεται να επαναληφθούν για το Ucedane.

Όπως για κάθε φάρμακο, η εταιρεία υπέβαλε μελέτες για την ποιότητα του Ucedane. Η εταιρεία διεξήγαγε επίσης μελέτη προκειμένου να αποδειχθεί η «βιοϊσοδυναμία» με το φάρμακο αναφοράς. Δύο φάρμακα είναι βιοϊσοδύναμα όταν παράγουν τα ίδια επίπεδα δραστικής ουσίας στον οργανισμό και επομένως αναμένεται να έχουν την ίδια επίδραση.

Ποια είναι τα οφέλη και οι κίνδυνοι του Ucedane;

Δεδομένου ότι το Ucedane είναι γενόσημο φάρμακο και βιοϊσοδύναμο με το φάρμακο αναφοράς, τα οφέλη και οι κίνδυνοι που συνδέονται με αυτό ταυτίζονται με τα οφέλη και τους κινδύνους του φαρμάκου αναφοράς.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Ucedane στην ΕΕ;

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι, σύμφωνα με τις απαιτήσεις της ΕΕ, έχει αποδειχθεί ότι το Ucedane είναι συγκρίσιμης ποιότητας και βιοϊσοδύναμο με το Carbaglu. Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός έκρινε ότι, όπως ισχύει για το Carbaglu, τα οφέλη του Ucedane υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων και μπορεί να χορηγηθεί άδεια για τη χρήση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Ucedane;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Ucedane.

Λοιπές πληροφορίες για το Ucedane

Το Ucedane έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις 23 Ιουνίου 2017.

Περισσότερες πληροφορίες για το Ucedane διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ucedane

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 08-2021.