

**Ammonaps**  
*sodium phenylbutyrate***Резюме на EPAR за обществено ползване**

*Настоящият документ представлява резюме на Европейския доклад за обществена оценка (EPAR). В него се разяснява как Комитетът по лекарствени продукти за хуманна употреба (CHMP) оценява проведените проучвания, за да направи своите препоръки как да се използва лекарството.*

*Ако се нуждаете от повече информация за Вашето медицинско състояние или лечение, прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт. Ако желаете повече информация за основанията на препоръките на CHMP, прочетете научното обсъждане (също част от EPAR).*

**Какво представлява Ammonaps?**

Ammonaps е лекарство, което съдържа активното вещество натриев фенилбутират (*sodium phenylbutyrate*). Предлага се под формата на бели овални таблетки (500 mg) и гранули (940 mg/g).

**За какво се използва Ammonaps?**

Ammonaps се прилага за лечение на пациенти, които имат нарушения в урейния цикъл. Тези пациенти не могат да отделят отпадъчния азот от тялото, поради дефицит на някои ензими, които обикновено се намират в черния дроб. В тялото отпадъчният азот е под формата на амоняк, който е токсичен, особено за мозъка.

Ammonaps се прилага при пациенти, които имат дефицит на един или повече от следните ензими: карбамил-фосфатсинтетаза, орнитин-транскарбамилаза или аргинин-сукцинатсинтетаза. Може да се прилага при пациенти със следните форми на заболяването:

- заболяване с „ранно начало“ при бебета с пълен дефицит на един или повече от тези ензими, в рамките на първия месец от живота;
- заболяване с „късно начало“ при пациенти с частичен ензимен дефицит след първия месец от раждането и нарушение в мозъка, причинено от високи нива на амоняк в кръвта.

Лекарствен продукт, отпускан по лекарско предписание.

**Как да използвате Ammonaps?**

Лечението с Ammonaps трябва да се провежда от лекар с опит в лечението на нарушения в цикъла на уреята.

Ammonaps се прилага като допълнителна терапия към друго лечение заедно със специална нископротеинова диета, за да се намали приема на азот. Дневната доза Ammonaps се определя индивидуално за всеки пациент и зависи от диетата, височината и теглото на пациента.

Необходимо е провеждането на редовни кръвни тестове, за да се открие подходящата дневна доза. Дозата Ammonaps трябва да се раздели на равни части и да се приема при всяко хранене. Таблетките са за възрастни и деца, а гранулите се използват при бебета и пациенти, които не могат да поглъщат таблетки. Гранулите се смесват или с храна, или с напитка, непосредствено

преди приемане, или се разтварят във вода, преди да се приемат чрез тръба, която води до стомаха през коремната стена или сонда, водеща от носа в стомаха.

Ammonaps е лекарство за дългосрочно лечение и трябва да се приема, докато пациентът премине успешна чернодробна трансплантация.

### **Как действа Ammonaps?**

Приемането на протеини води до внасяне на азот в тялото, който след това се трансформира в амоняк. Пациенти с нарушения в урейния цикъл не могат да отделят амоняк от тялото си, като той може да достигне високи нива, водейки до сериозни проблеми, включително инвалидност, нарушения в мозъка и смърт. В организма активното вещество в Ammonaps, натриев фенилбутират, се превръща във вещество, наречено фенилацетат. Фенилацетат се свързва с аминокиселината глутамин, съдържаща азот и се образува вещество, което може да се отдели от тялото чрез бъбреците. Това позволява нивата на азот в тялото да се намалят, като се намалява количеството на произведения амоняк.

### **Как е проучен Ammonaps?**

Ammonaps е проучен при 82 пациенти с нарушения в урейния цикъл, които са лекувани с Ammonaps и не са подлагани на други лечения за тяхното заболяване преди това. Ammonaps не е сравняван с други терапии. Основната мярка за ефективност е преживяемостта, но проучването също така обръща внимание на броя хиперамонемични епизоди (периоди с много високи нива на амоняк в кръвта), развитието на познавателните способности (развитие на способността за мислене, учене и запомняне), растежа и нивата на амоняк и глутамин в кръвта.

### **Какви ползи от Ammonaps са установени в проучванията?**

Общият процент на преживяемост е около 80 % при новородени, които приемат Ammonaps. За разлика от това, нелекуваните новородени обикновено умират до края на първата година след раждането. Процентът на преживяемост е по-висок при пациенти, които развиват болестта по-късно през живота си. Ранното диагностициране и незабавното лечение са важни за намаляване на риска от инвалидност.

### **Какви са рисковете, свързани с Ammonaps?**

Най-честите нежелани реакции при Ammonaps (наблюдавани при повече от 1 на 10 пациенти) са аменорея (липса на менструален цикъл) и нередовна менструация (нередовни менструални цикли), но това се случва само при пациенти от женски пол с детороден потенциал. Други чести нежелани реакции включват нарушена бъбречна функция и нетипичен брой на кръвни клетки (червени кръвни клетки, бели кръвни клетки и тромбоцити). За пълния списък на всички наблюдавани при Ammonaps нежелани реакции – вижте листовката.

Ammonaps е противопоказан за хора, които биха могли да проявят свръхчувствителност (алергични реакции) към натриев фенилбутират или някоя от другите съставки. Не трябва да се прилага при пациентки, които са бременни или кърмят.

### **Основания за одобряване на Ammonaps?**

Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) отбелязва, че нарушенията в урейния цикъл са сериозно заболяване с малко налични лечения и че е доказано, че Ammonaps предотвратява прекаленото покачване на нивата на амоняк. По тази причина, въпреки ограничената налична информация, CHMP решава, че ползите от Ammonaps са по-големи от рисковете за допълнителна терапия при продължително лечение на нарушения в урейния цикъл. Комитетът препоръчва на Ammonaps да бъде издадено разрешение за употреба. Ammonaps е разрешен при „извънредни обстоятелства“, тъй като заболяването е рядко и към момента на одобрение е налична ограничена информация. Тъй като компанията предоставя исканата допълнителна информация, ограничението „извънредни обстоятелства“ е отменено на 6 юли 2004 г.

### **Допълнителна информация за Ammonaps:**

Европейската комисия издава разрешение за употреба, валидно в рамките на Европейския съюз, за Ammonaps на 8 декември 1999 г. Разрешението за употреба е подновено на 8 декември 2004

г. и на 8 декември 2009 г. Притежател на разрешението за употреба е Swedish Orphan International AB.

Пълният текст на EPAR относно Ammonaps може да се намери [тук](#).

**Дата на последно актуализиране на текста 12-2009 г.**