

**Ammonaps**  
*natrium-fenylbutyrát***Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost**

*Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR). Objasňuje, jakým způsobem vyhodnotil Výbor pro humánní léčivé přípravky provedené studie, aby mohl vypracovat doporučení ohledně používání přípravku. Chcete-li získat další informace o svém onemocnění nebo jeho léčbě, přečtěte si příbalové informace (které jsou součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka. Bližší informace o tom, na základě čeho Výbor pro humánní léčivé přípravky svá doporučení vypracoval, jsou uvedeny ve vědeckých diskusích (rovněž součástí zprávy EPAR).*

**Co je Ammonaps?**

Ammonaps je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku natrium-fenylbutyrát. Je dostupný ve formě bílých oválných tablet (500 mg) a granulí (940 mg/g).

**Na co se přípravek Ammonaps používá?**

Přípravek Ammonaps se používá k léčbě pacientů s poruchami metabolismu močoviny. Tito pacienti nejsou schopni vylučovat z těla odpadní dusík, neboť trpí nedostatkem určitých enzymů, které se obvykle nacházejí v játrech. V těle se odpadní dusík vyskytuje ve formě amoniaku, který je toxický, a to zejména pro mozek.

Přípravek Ammonaps se používá u pacientů, kteří mají nedostatek jednoho či více následujících enzymů: karbamoylfosfátsyntetáza, ornitin-karbamoyltransferáza nebo argininsukcinátsyntetáza.

Přípravek může být používán u pacientů trpících těmito formami onemocnění:

- „časnou formou“ onemocnění u kojenců, kteří vykazují kompletní nedostatek jednoho nebo více uvedených enzymů v průběhu prvního měsíce života,
- „pozdní formou“ onemocnění u pacientů, kteří vykazují částečný nedostatek enzymu po prvním měsíci života a došlo u nich k poškození mozku způsobenému vysokými hladinami amoniaku v krvi.

Tento lék je dostupný pouze na lékařský předpis.

**Jak se přípravek Ammonaps používá?**

Léčba přípravkem Ammonaps by měla probíhat pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s léčbou pacientů trpících poruchami metabolismu močoviny.

Přípravek Ammonaps se používá jako přídatná léčba k jiným typům léčby a v kombinaci se speciální stravou s nízkým obsahem bílkovin, jejímž cílem je snížení příjmu dusíku. Denní dávka přípravku Ammonaps se stanovuje individuálně pro každého pacienta a závisí na stravě, výšce a tělesné hmotnosti pacienta. Pro stanovení správné denní dávky je třeba pravidelně provádět vyšetření krve. Celková dávka přípravku Ammonaps by měla být rozdělena do stejně velkých dílčích dávek, které by měly být podávány spolu s každým jídlem.

Tablety jsou určeny pro dospělé a děti a granule pro kojence a pacienty, kteří nemohou polykat tablety. Granule je možné buď smíchat s jídlem nebo pitím bezprostředně před jejich podáním, nebo rozpustit ve vodě a následně podat pomocí trubice zavedené přes břicho či nos do žaludku.

Přípravek Ammonaps je určený pro dlouhodobou léčbu a je třeba jej užívat až do provedení úspěšné transplantace jater.

### **Jak přípravek Ammonaps působí?**

Přijímání bílkovin ve stravě vede k přísunu dusíku do těla, kde se následně přeměňuje na amoniak. Pacienti s poruchou metabolismu močoviny nejsou schopni odbourávat amoniak z těla. Proto u nich dosahuje vysokých hladin, což vede k závažným potížím včetně postižení, poškození mozku a smrti. Natrium-fenylbutyrát, léčivá látka v přípravku Ammonaps, se v těle přeměňuje na látku nazývanou fenylacetát. Fenylacetát se slučuje s aminokyselinou glutamin, která obsahuje dusík, a vytváří tak látku, která může být ledvinami z těla vyloučena. Tím se snižují hladiny dusíku v krvi, čímž se zároveň omezuje množství produkovaného amoniaku.

### **Jak byl přípravek Ammonaps zkoumán?**

Přípravek Ammonaps byl zkoumán na 82 pacientech trpících poruchou metabolismu močoviny, kteří byli léčeni přípravkem Ammonaps a dosud jim nebyly podávány žádné jiné přípravky k léčbě jejich onemocnění. Přípravek Ammonaps nebyl srovnáván s žádnou jinou léčbou. Hlavním měřítkem účinnosti byla míra přežití, avšak studie zkoumala rovněž počet hyperamonemických epizod (období velmi vysokých hladin amoniaku v krvi), vývoj poznávacích schopností (rozvoj schopnosti myslet, učit se a pamatovat si), tělesný růst a hladiny amoniaku a glutaminu v krvi.

### **Jaký přínos přípravku Ammonaps byl prokázán v průběhu studií?**

Celková míra přežití u novorozenců, kterým byl podáván přípravek Ammonaps, činila 80 %. Naopak neléčení novorozenci s tímto onemocněním obvykle umírají v průběhu prvního roku života. Míra přežití byla vyšší u pacientů, u kterých se onemocnění vyvinulo v pozdější fázi života. Včasná diagnóza a okamžitá léčba jsou důležitými faktory pro snížení rizika postižení.

### **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Ammonaps?**

Mezi nejběžnější vedlejší účinky přípravku Ammonaps (zaznamenané u více než 1 pacienta z 10) patří amenorea (absence menstruace) a nepravidelné menstruační krvácení, avšak tyto vedlejší účinky se vyskytují pouze u plodných ženských pacientek. Mezi další běžné vedlejší účinky patří porucha funkce ledvin a abnormální počet krevních buněk (červených a bílých krvinek a krevních destiček). Úplný seznam vedlejších účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Ammonaps je uveden v příbalových informacích.

Přípravek Ammonaps by neměly užívat osoby s možnou přecitlivělostí (alergií) na natrium-fenylbutyrát nebo na kteroukoli jinou složku přípravku. Přípravek nesmějí užívat těhotné nebo kojící pacientky.

### **Na základě čeho byl přípravek Ammonaps schválen?**

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) poznamenal, že poruchy metabolismu močoviny představují závažné onemocnění, pro které neexistuje mnoho možností léčby, a že přípravek Ammonaps prokázal, že působí preventivně na přílišný nárůst hladin amoniaku. Proto výbor CHMP navzdory omezenému množství informací rozhodl, že přínosy přípravku Ammonaps jako podpůrné léčby v rámci chronické terapie poruch metabolismu močoviny převyšují jeho rizika. Výbor doporučil, aby přípravku Ammonaps bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

Přípravku Ammonaps bylo uděleno rozhodnutí o registraci „za výjimečných okolností“. To znamená, že vzhledem ke vzácné povaze onemocnění nebylo možné ve fázi schvalování získat o přípravku vyčerpávající informace. Vzhledem k tomu, že společnost požadované doplňující informace předložila, označení „za výjimečných okolností“ bylo dne 6. července 2004 odvoláno.

### **Další informace o přípravku Ammonaps:**

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Ammonaps platné v celé Evropské unii dne 8. prosince 1999. Registrace byla obnovena dne 8. prosince 2004 a dne 8. prosince 2009. Držitelem rozhodnutí o registraci je společnost Swedish Orphan International AB.

Plné znění Evropské veřejné zprávy o hodnocení (EPAR) pro přípravek Ammonaps je k dispozici [zde](#).

**Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 12-2009.**