

**Ammonaps**  
*natriumphenylbutyrat***EPAR - sammendrag for offentligheden**

*Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR). Det forklarer, hvordan Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP) vurderede de gennemførte undersøgelser og nåede frem til sine anbefalinger om, hvordan lægemidlet skal anvendes.*

*Hvis du ønsker yderligere oplysninger om din sygdomstilstand eller behandling, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om baggrunden for CHMP's anbefalinger, kan du læse den faglige drøftelse (også en del af denne EPAR).*

**Hvad er Ammonaps?**

Ammonaps er et lægemiddel, som indeholder det aktive stof natriumphenylbutyrat. Det leveres som hvide, ovale tabletter (500 mg) og som granulat (940 mg/g).

**Hvad anvendes Ammonaps til?**

Ammonaps anvendes til behandling af patienter, der lider af forstyrrelser i urinstofcyklus. Disse patienter kan ikke udskille de kvælstofholdige affaldsstoffer, fordi de mangler visse enzymer, som normalt findes i leveren. De kvælstofholdige affaldsstoffer findes i kroppen i form af ammoniak, som er specielt giftigt for hjernen.

Ammonaps anvendes til patienter, der mangler et eller flere af følgende enzymer: carbamylfosfat syntetase, ornithin transcarbamylase eller argininosuccinat syntetase. Det kan anvendes til patienter med følgende former af sygdommen:

- tidlig sygdomsdebut hos spædbørn, hvor et eller flere af disse enzymer mangler fuldstændigt, inden for den første måned efter fødslen
- sen sygdomsdebut hos patienter, der er over en måned gamle og delvis mangler et enzym og har haft hjerneskade forårsaget af højt ammoniakindhold.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

**Hvordan anvendes Ammonaps?**

Behandling med Ammonaps bør overvåges af en læge med erfaring i behandling af patienter med forstyrrelser i urinstofcyklus.

Ammonaps anvendes som en tillægsbehandling til andre behandlinger og sammen med en særlig lavproteindiæt for at begrænse indtagelsen af kvælstof. Den daglige dosis af Ammonaps tilpasses den enkelte patient og afhænger af patientens kost, højde og vægt. Der skal regelmæssigt tages blodprøver for at finde frem til den korrekte daglige dosis. Den daglige dosis Ammonaps skal deles i lige store mængder, der indtages med hvert måltid.

Tabletterne anvendes til voksne og børn, mens granulatet bruges til spædbørn og patienter, der ikke kan sluge tabletter. Granulatet blandes enten i mad eller væske umiddelbart inden indtagelse eller opløses i vand, inden det tilføres gennem et rør, der er ført gennem bugvæggen eller næsen ind i maven.

Behandlingen med Ammonaps er langsigtet og skal fortsætte, indtil patienten har fået foretaget en vellykket levertransplantation.

### **Hvordan virker Ammonaps?**

Indtagelse af protein tilfører kroppen kvælstof, som herefter omdannes til ammoniak. Patienter med forstyrrelser i urinstofcyklus kan ikke udskille ammoniak, som derfor kan forekomme i høje koncentrationer i kroppen, hvilket kan medføre alvorlige problemer, bl.a. invaliditet, hjerneskade og død. Det aktive stof i Ammonaps, natriumphenylbutyrat, omdannes i kroppen til et andet stof kaldet phenylacetat. Phenylacetat bindes til aminosyren glutamin, som indeholder kvælstof, hvorved der dannes et stof, som kan udskilles gennem nyrerne. Det får kvælstofindholdet i kroppen til at falde, hvorved produktionen af ammoniak nedsættes.

### **Hvordan blev Ammonaps undersøgt?**

Ammonaps er blevet undersøgt hos 82 patienter med forstyrrelser i urinstofcyklus, som fik behandling med Ammonaps og ikke var blevet behandlet for deres sygdom tidligere. Ammonaps blev ikke sammenlignet med andre behandlinger. Det vigtigste mål for behandlingens virkning var overlevelse, men derudover undersøgte antallet af tilfælde af hyperammoniæmi (perioder med meget højt ammoniakindhold i blodet), kognitiv udvikling (udvikling af evnen til at tænke, lære og huske), vækst samt blodets indhold af ammoniak og glutamin.

### **Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Ammonaps?**

I alt overlevede ca. 80 % af nyfødte patienter, som fik Ammonaps. I modsætning hertil dør ubehandlede nyfødte almindeligvis inden for det først leveår. Overlevelsesprocenten var højere hos patienter, der havde udviklet sygdommen senere i livet. Tidlig diagnose af sygdommen og øjeblikkelig påbegyndelse af behandlingen er vigtigt for at nedsætte risikoen for invaliditet.

### **Hvilken risiko er der forbundet med Ammonaps?**

De mest almindelige bivirkninger ved Ammonaps (som ses hos flere end 1 ud af 10 patienter) er udeblivende menstruation og uregelmæssig menstruation, men disse bivirkninger optræder kun hos kvinder i den fødedygtige alder. Andre almindelige bivirkninger er unormal nyrefunktion og unormal blodtælling (røde blodlegemer, hvide blodlegemer og blodplader). Den fuldstændige liste over alle de indberettede bivirkninger ved Ammonaps fremgår af indlægssedlen.

Ammonaps må ikke anvendes af patienter, der kan være overfølsomme (allergiske) over for natriumphenylbutyrat eller andre af indholdsstofferne. Det må ikke anvendes hos patienter, der er gravide eller ammer.

### **Hvorfor blev Ammonaps godkendt?**

Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP) konstaterede, at forstyrrelser i urinstofcyklus er en alvorlig sygdom med få tilgængelige behandlingsmuligheder, og at det er påvist, at Ammonaps forebygger for høje mængder ammoniak hos patienterne. Selvom der kun forelå begrænsede oplysninger, besluttede CHMP derfor, at fordelene ved Ammonaps er større end risiciene til tillægsbehandling i forbindelse med kronisk kontrol af forstyrrelser i urinstofcyklus. Udvalget anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse for Ammonaps.

Ammonaps blev godkendt på "særlige omstændigheder", da der på godkendelsestidspunktet kun forelå sparsomme oplysninger som følge af sygdommens sjældenhed. Efter at virksomheden havde fremlagt de yderligere oplysninger, som man havde anmodet om, blev de 'særlige omstændigheder' ophævet den 6. juli 2004.

### **Andre oplysninger om Ammonaps:**

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Ammonaps den 8. december 1999. Markedsføringstilladelsen blev fornyet den 8. december 2004 og den 8. december 2009. Indehaveren af markedsføringstilladelsen er Swedish Orphan International AB.

Den fuldstændige EPAR for Ammonaps findes [her](#).

**Dette sammendrag blev sidst ajourført i 12-2009**