

Ammonaps
φαινυλοβουτυρικό νάτριο**Περίληψη EPAR για το κοινό**

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR). Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε τις μελέτες που εκπονήθηκαν και διατύπωσε συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του φαρμάκου.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με την ιατρική σας πάθηση ή τη θεραπεία σας, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται στην ευρωπαϊκή δημόσια έκθεση αξιολόγησης) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τις συστάσεις της επιτροπής, συμβουλευθείτε την επιστημονική συζήτηση (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην ευρωπαϊκή δημόσια έκθεση αξιολόγησης).

Τι είναι το Ammonaps;

Το Ammonaps είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία φαινυλοβουτυρικό νάτριο. Διατίθεται υπό μορφή λευκών ωοειδών δισκίων (500 mg) και κόκκων (940 mg/g).

Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Ammonaps;

Το Ammonaps χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών με διαταραχές του κύκλου ουρίας που δεν μπορούν να αποβάλλουν τα υπολείμματα αζώτου από τον οργανισμό, επειδή παρουσιάζουν έλλειψη σε ένζυμα που βρίσκονται συνήθως στο ήπαρ. Τα υπολείμματα αζώτου βρίσκονται στον οργανισμό υπό τη μορφή αμμωνίας, η οποία είναι τοξική, ιδιαίτερα για τον εγκέφαλο.

Το Ammonaps χορηγείται σε ασθενείς που παρουσιάζουν έλλειψη ενός ή περισσότερων από τα ακόλουθα ένζυμα: συνθετάση του καρβαμυλο-φωσφορικού οξέος, ορνιθινοτρανσκαρβαμυλάση ή συνθετάση του αργινινο-ηλεκτρικού οξέος. Ενδείκνυται για τους ασθενείς με τις ακόλουθες μορφές της νόσου:

- εμφάνιση της νόσου σε βρέφη που παρουσιάζουν πλήρη έλλειψη ενός ή περισσότερων από τα εν λόγω ένζυμα τον πρώτο μήνα ζωής
- όψιμη εμφάνιση της νόσου σε ασθενείς που παρουσιάζουν μερική ενζυμική έλλειψη μετά τον πρώτο μήνα ζωής και έχουν ιστορικό εγκεφαλοπάθειας προκαλούμενης από υψηλά επίπεδα αμμωνίας στο αίμα.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.

Πώς χρησιμοποιείται το Ammonaps;

Η θεραπεία με Ammonaps πρέπει να παρακολουθείται από γιατρό με πείρα στη θεραπεία ασθενών με διαταραχές του κύκλου ουρίας.

Το Ammonaps χορηγείται ως συμπληρωματική θεραπεία σε άλλες αγωγές και σε συνδυασμό με ειδική διαίτα χαμηλής περιεκτικότητας σε πρωτεΐνες για τη μείωση της πρόσληψης αζώτου. Η ημερήσια δόση Ammonaps προσαρμόζεται για κάθε ασθενή ξεχωριστά και εξαρτάται από τη διατροφή, το ύψος και το βάρος του ασθενούς. Απαιτούνται τακτικές εξετάσεις αίματος για τον καθορισμό της σωστής ημερήσιας δόσης. Η δόση του Ammonaps πρέπει να υποδιαιρείται σε ίσες ποσότητες, οι οποίες λαμβάνονται με κάθε γεύμα.

Τα δισκία ενδείκνυνται για τους ενήλικες και τα παιδιά ενώ οι κόκκοι χορηγούνται στα βρέφη και στους ασθενείς που δεν μπορούν να καταπιούν τα δισκία. Οι κόκκοι αναμειγνύονται με τροφή ή υγρό αμέσως πριν από την κατανάλωση ή διαλύονται σε νερό, πριν χορηγηθούν μέσω σωλήνα που φτάνει στο στομάχι μέσω της κοιλιάς ή της μύτης.

Το Ammonaps αποτελεί μακροπρόθεσμη αγωγή και πρέπει να λαμβάνεται έως ότου πραγματοποιηθεί στον ασθενή επιτυχής μεταμόσχευση ήπατος.

Πώς δρα το Ammonaps;

Με την πρόσληψη πρωτεϊνών μέσω της διατροφής, εισέρχεται άζωτο στον οργανισμό, το οποίο στη συνέχεια μετατρέπεται σε αμμωνία. Οι ασθενείς με διαταραχές του κύκλου ουρίας δεν μπορούν να αποβάλλουν την αμμωνία από τον οργανισμό, η οποία, συνεπώς, συσσωρεύεται σε υψηλή συγκέντρωση, προκαλώντας σοβαρές παθήσεις όπως αναπηρία, βλάβη του εγκεφάλου και θάνατο. Η δραστική ουσία του Ammonaps, το φαινυλοβουτυρικό νάτριο, μετατρέπεται στον οργανισμό σε μια ουσία που ονομάζεται φαινυλοξικό. Με την ένωση του φαινυλοξικού με το αμινοξύ γλουταμίνη, το οποίο περιέχει άζωτο, σχηματίζεται μια ουσία που απεκκρίνεται από τον οργανισμό διαμέσου των νεφρών. Έτσι, μειώνεται η συγκέντρωση αζώτου στον οργανισμό και κατά συνέπεια η ποσότητα της παραγόμενης αμμωνίας.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Ammonaps;

Το Ammonaps μελετήθηκε σε 82 ασθενείς με διαταραχές του κύκλου ουρίας στους οποίους χορηγήθηκε Ammonaps και οι οποίοι δεν είχαν λάβει στο παρελθόν άλλη αγωγή για την ασθένεια αυτή. Το Ammonaps δεν συγκρίθηκε με άλλη αγωγή. Κύριος δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η επιβίωση, αλλά εξετάστηκαν επίσης ο αριθμός των υπεραμμωναιμικών κρίσεων (περίοδοι με πολύ υψηλή συγκέντρωση αμμωνίας στο αίμα), η γνωστική ανάπτυξη (ικανότητα σκέψης, μάθησης και μνήμης), η σωματική ανάπτυξη και η συγκέντρωση αμμωνίας και γλουταμίνης στο αίμα.

Ποιο είναι το όφελος του Ammonaps σύμφωνα με τις μελέτες;

Το συνολικό ποσοστό επιβίωσης ήταν περίπου 80% στα νεογνά που έλαβαν Ammonaps. Αντιθέτως, τα νεογνά που δεν υποβάλλονταν σε θεραπεία συνήθως πεθαίνουν το πρώτο έτος ζωής. Το ποσοστό επιβίωσης ήταν υψηλότερο σε ασθενείς που ανέπτυξαν τη νόσο σε μεγαλύτερη ηλικία. Η έγκαιρη διάγνωση και η άμεση θεραπεία διαδραματίζουν σημαντικό ρόλο στη μείωση του κινδύνου αναπηρίας.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Ammonaps;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Ammonaps (εμφανίζονται σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι η αμηνόρροια (απουσία εμμήνου ρύσης) και η ακανόνιστη εμμηνορροσία (ακανόνιστος έμμηνος κύκλος), αλλά αυτές αφορούν μόνο γόνιμες γυναίκες ασθενείς. Άλλες συνήθεις ανεπιθύμητες ενέργειες συμπεριλαμβάνουν νεφρική δυσλειτουργία και μη φυσιολογικό αριθμό αιμοσφαιρίων (ερυθρά, λευκά, αιμοπετάλια). Ο πλήρης κατάλογος όλων των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Ammonaps περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Ammonaps δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς που ενδέχεται να παρουσιάσουν υπερευαισθησία (αλλεργία) στο φαινυλοβουτυρικό νάτριο ή σε κάποιο άλλο από τα συστατικά του φαρμάκου. Δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς που είναι έγκυες ή θηλάζουν.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Ammonaps;

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) επισήμανε ότι οι διαταραχές του κύκλου της ουρίας είναι σοβαρή ασθένεια για την οποία υπάρχουν λίγες διαθέσιμες θεραπείες και τόνισε ότι έχει αποδειχθεί ότι το Ammonaps προλαμβάνει την υπερβολική αύξηση των επιπέδων αμμωνίας. Συνεπώς, παρότι οι πληροφορίες που διατίθενται είναι περιορισμένες, η CHMP έκρινε ότι τα οφέλη του Ammonaps υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό ως συμπληρωματική αγωγή για τη χρόνια αντιμετώπιση των διαταραχών του κύκλου ουρίας. Η επιτροπή εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Ammonaps.

Το Ammonaps είχε εγκριθεί με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων», διότι, λόγω της σπανιότητας της ασθένειας, οι διαθέσιμες πληροφορίες κατά τη στιγμή της έγκρισης ήταν περιορισμένες. Η εταιρεία υπέβαλε τις πρόσθετες πληροφορίες που της ζητήθηκαν και το καθεστώς των «εξαιρετικών περιστάσεων» έληξε στις 6 Ιουλίου 2004.

Λοιπές πληροφορίες για το Ammonaps:

Στις 8 Δεκεμβρίου 1999 η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Ammonaps. Η άδεια κυκλοφορίας ανανεώθηκε στις 8 Δεκεμβρίου 2004 και στις 8 Δεκεμβρίου 2009. Κάτοχος της άδειας κυκλοφορίας είναι η εταιρεία Swedish Orphan International AB.

Η πλήρης δημόσια έκθεση αξιολόγησης (EPAR) του Ammonaps διατίθεται [εδώ](#).

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 12-2009