

Ammonaps
Natriumfenüülbutüraat**Kokkuvõte üldsusele**

Käesolev dokument on Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas inimravimite komitee hindas tehtud uuringuid, et koostada ravimi kasutamise soovitusel. Kui vajate oma haigusseisundi või ravi kohta asjakohast lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole. Kui soovite lisateavet inimravimite komitee soovitude aluse kohta, lugege palun teadusliku arutelu kokkuvõtet (samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa).

Mis on Ammonaps?

Ammonaps on ravim, mis sisaldab toimeainena naatriumfenüülbutüraati. Seda turustatakse valgete ovaalsete tablettide (500 mg) ja graanulitena (940 mg/g).

Milleks Ammonapsi kasutatakse?

Ammonapsi kasutatakse patsientidel, kellel on ureatsükli häire. Nende patsientide organism ei ole võimeline vabanema jääklämmastikust, kuna neil puuduvad teatud maksaensüümid. Jääklämmastik on organismis ammoniaagi kujul, mis on eriti mürgine ajule.

Ammonapsi kasutatakse patsientidel, kellel esineb ühe või enama järgmise ensüümi puudulikkus: karbamüülfosfaadi süntetaas, ornitiintranskarbamülaas või arginiinuksünaadi süntetaas. Ravimit tohib kasutada järgmiste haigustega patsientidel:

- varase algusega haigus ühe või enama nimetatud ensüümi täieliku puudulikkusega imikutel esimesel elukuul;
- hilise algusega haigus osalise ensüümpuudulikkusega ühe kuu vanustel patsientidel, kellel on olnud vere kõrgest ammoniaagisisaldusest tingitud ajukahjustus.

Seda ravimit saab üksnes retsepti alusel.

Kuidas Ammonapsi kasutatakse?

Ravi Ammonapsiga peab toimuma üksnes ureatsükli häiretega patsientide ravis kogenud arsti järelevalve all.

Ammonapsi kasutatakse lisaks muudele ravimitele ning koos madala valgusisaldusega dieediga lämmastiku koguse vähendamiseks. Ammonapsi ööpäevane annus arvutatakse konkreetse patsiendi järgi ja sõltub patsiendi dieedist, pikkusest ja kehakaalust. Õige ööpäevase annuse arvutamiseks on vaja teha regulaarseid vereanalüüse. Ammonapsi ööpäevane annus jagatakse võrdseteks osadeks ja manustatakse söögiaegadel.

Tabletid on manustamiseks täiskasvanutele ja lastele ning graanulid imikutele ja patsientidele, kes ei suuda tablette neelata. Graanulid kas segatakse toidu või joogi sisse vahetult enne manustamist või lahustatakse vees ja manustatakse seejärel kõhtu või nina läbiva toru kaudu makku.

Ammonapsi ravi on pikaajaline ja seda tuleb kasutada seni, kuni patsiendile on tehtud edukas maksasiirdamine.

Kuidas Ammonaps toimib?

Valkude söömisel saab organism lämmastikku, mis muundatakse ammoniaagiks. Uureatsükli häirega patsientide organism ei ole võimeline vabanema ammoniaagist, mistõttu selle sisaldus võib muutuda suureks ja tekitada tõsiseid probleeme, sealhulgas invaliidsus, ajukahjustus ja surm. Ammonapsi toimeaine naatriumfenüülbutüraat muundatakse organismis fenüülatsetaadiks. Fenüülatsetaat ühineb lämmastikku sisaldava aminohappe glutamiiniga, tekitades aine, mis väljub organismist neerude kaudu. See võimaldab lämmastikusisalduse vähenemist organismis, mis vähendab omakorda toodetud ammoniaagi sisaldust.

Kuidas Ammonapsi uuriti?

Ammonapsi on uuritud 82-l uureatsükli häirega patsiendil, kellele manustati Ammonapsi ning kellel ei olnud varem seda haigust ravitud. Ammonapsi ei võrreldud teiste ravimitega. Efektivsuse põhinäitaja oli elulemus, kuid uuringus vaadeldi ka hüperammoneemiliste episoodide arvu, kognitiivset (intellekti) arengut, kasvamist ning vere ammoniaagi- ja glutamiinisaldusi.

Milles seisneb uuringute põhjal Ammonapsi kasulikkus?

Ammonapsi saanud vastsündinute korral oli üldine elulemuse määr umbes 80%. Seevastu ravimata vastsündinud surevad tavaliselt esimesel eluaastal. Elulemus oli suurem nendel patsientidel, kellel haigus avaldus hilisemas elus. Puude kujunemise ohu vähendamiseks on oluline varane diagnoosimine ja viivitamatu alustamine raviga.

Mis riskid Ammonapsiga kaasnevad?

Ammonapsi kõige sagedamad kõrvalnähtud (esinenud enam kui ühel patsiendil kümnest) on amenorröa (menstruatsiooni puudumine) ja ebaregulaarne menstruatsioonitsükkel, kuid neid esineb vaid viljakas eas naispatsientidel. Teiste sagedaste kõrvalnähtude hulka kuuluvad ebanormaalne neerutalitlus ja muutused vererakkude (punalibled, valgelibled, vereliistakud) sisalduses. Ammonapsi kohta teatatud kõrvalnähtude täieliku loetelu leiate pakendi infolehel.

Ammonapsi ei tohi kasutada patsiendid, kes võivad olla naatriumfenüülbutüraadi või selle ravimi mis tahes muu koostisaine suhtes ülitundlikud (allergilised). Rasedad või imetavad patsiendid Ammonapsi kasutada ei tohi.

Miks Ammonaps heaks kiideti?

Inimravimite komitee märkis, et uureatsükli häire on väheste ravivõimalustega raske haigus ja et Ammonaps on osutunud efektiivseks ammoniaagisisalduse suurenemise ennetamisel. Inimravimite komitee otsustas seetõttu hoolimata piisava teabe puudumisest, et Ammonapsi kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid adjuvantravimina uureatsükli häirete pikaajalises ravis. Komitee soovitas anda Ammonapsile müügiloa.

Ammonapsile anti müügiluba erandkorras, sest kuna see haigus on haruldane, ei olnud ravimi heakskiitmise ajal veel piisavalt teavet. Et ettevõtte esitas vajaliku lisateabe, tühistati müügiloa erandkorras väljastatus 6. juulil 2004.

Muu teave Ammonapsi kohta

Euroopa Komisjon andis Ammonapsi müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 8. detsembril 1999. Müügiluba pikendati 8. detsembril 2004 ja 8. detsembril 2009. Müügiloa hoidja on Rootsi Orphan International AB.

Euroopa avaliku hindamisaruande täisteksti Ammonapsi kohta leiate [siit](#).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 12-2009.