

Ammonaps
natriumfenyylibutyraatti**Julkinen EPAR-yhteenvedo**

Tämä teksti on yhteenvedo Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR). Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut tehtyjä tutkimuksia ja päätynt suosituksiin lääkkeen käytöstä.

Jos tarvitset lisätietoja sairaudestasi tai hoidostasi, lue pakkausseloste (sisältyy myös arviointilausuntoon) tai ota yhteys lääkäriin tai apteekkiin. Jos haluat CHMP:n suositusten perusteella lisätietoja, lue tieteellisen käsittelyn teksti (sisältyy myös arviointilausuntoon).

Mitä Ammonaps on?

Ammonaps on lääke, joka sisältää vaikuttavana aineena natriumfenyylibutyraattia. Sitä saa valkoisina soikeina tabletteina (500 mg) ja rakeina (940 mg/g).

Mihin Ammonapsia käytetään?

Ammonapsia käytetään hoitamaan potilaita, joilla ureakierron häiriö. Jännöstyppi ei poistu näiden potilaiden kehosta, koska heillä ei ole tiettyjä yleensä maksassa olevia entsyymejä. Kehossa ammoniakkin muodossa oleva jännöstyppi on erityisen myrkyllistä aivokudoksille.

Ammonapsia käytetään potilailla, joilta puuttuu yksi tai useampia seuraavista entsyymeistä: karbamyylifosfaattisyntetaasi, ornitiinitranskarbamyylaasi tai arginiinimeripihkahapposyntetaasi.

Lääkevalmistetta voidaan käyttää potilailla, joilla häiriö ilmenee seuraavissa muodoissa:

- sairauden ”varhainen alkamisajankohta” vauvoilla, joilla ilmenee yhden tai useamman entsyymin täydellinen puuttuminen ensimmäisen elinkuukauden aikana
- sairauden ”myöhäinen alkamisajankohta” potilailla, joilla on osittainen entsyyminpuutos, joka ilmenee potilaan ollessa yli yhden kuukauden ikäinen, ja joilla on suuren ammoniakkipitoisuuden aiheuttama aivovaurio.

Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä.

Miten Ammonapsia käytetään?

Ammonaps-hoito annetaan sellaisen lääkärin valvonnassa, joka on perehtynyt ureakierron häiriöiden hoitoon.

Ammonapsia annetaan toisen hoidon lisänä yhdessä sellaisen vähäproteiinisen ruokavalion kanssa, jonka tarkoitus on vähentää typen saantia. Päivittäinen annos määrätään yksilökohtaisesti ja se riippuu potilaan ruokavaliosta, pituudesta ja painosta. Oikean päivittäisen annoksen löytämiseksi tarvitaan säännöllisiä verikokeita. Ammonaps otetaan yhtä suurina annoksia jokaisen ruokailun yhteydessä.

Tabletit on tarkoitettu aikuisille ja lapsille ja rakeita käytetään vauvoilla ja potilailla, jotka eivät pysty nielemään tabletteja. Rakeet sekoitetaan juuri ennen nauttimista joko ruokaan tai juomaan tai ne liuotetaan veteen ja annetaan maha- tai nenäletkun kautta mahalaukkuun.

Ammonapsia annetaan pitkäaikaishoitona, ja sitä on otettava siihen saakka, kunnes potilaalle on suoritettu onnistunut maksan siirto.

Miten Ammonaps vaikuttaa?

Proteiinien syönti tuo kehoon typpeä, joka muuttuu ammoniakiksi. Potilailla, joilla on ureakierron häiriö, ammoniakki ei poistu kehosta joten ammoniakkipitoisuudet saattavat nousta korkealle. Tämä voi johtaa vakaviin ongelmiin, mukaan lukien aivovaurio tai kuolema. Ammonapsin vaikuttava aine, natriumfenyylibutyraatti, muuttuu kehossa toiseksi aineeksi, fenyyliasetaatiksi. Fenyyliasetaatti yhdistyy typpeä sisältävän aminohappo glutamiinin kanssa ja muodostaa näin aineen, joka erittyy kehosta munuaisten kautta. Kehon typpipitoisuus alenee ja ammoniakkin tuotanto vähenee.

Miten Ammonapsia on tutkittu?

Ammonapsia tutkittiin 82 potilaalla, joilla oli ureakierron häiriö ja joita hoidettiin Ammonapsilla ja jotka eivät aiemmin olleet saaneet mitään lääkitystä tähän häiriöön. Ammonapsia ei verrattu muihin lääkevalmisteisiin. Tehon pääasiallisena mittana oli eloonjääminen. Muita tutkittuja seikkoja olivat hyperammoneemiset kohtaukset (vaiheet, jolloin ammoniakkipitoisuus veressä on erittäin korkea), kognitiivinen kehittyminen (ajattelu-, oppimis- ja muistikyvyn kehittyminen), kasvu sekä veren ammoniakki- ja glutamiinipitoisuudet.

Mitä hyötyä Ammonapsista on havaittu tutkimuksissa?

Ammonapsia saaneiden vastasyntyneiden joukossa eloonjäämisprosentti oli noin 80 %. Vastasyntyneet, jotka eivät saa hoitoa, kuolevat yleensä ensimmäisen elinvuotensa aikana. Eloonjäämisen mahdollisuudet olivat suuremmat niillä potilailla, joiden tauti alkoi myöhemmin. Varhainen diagnoosi ja välitön hoito ovat tärkeitä vammautumisen riskin vähentämiseksi.

Mitä riskejä Ammonapsiin liittyy?

Ammonapsin yleisimmät sivuvaikutukset (useammalla kuin yhdellä potilaalla 10:stä) on kuukautisten puuttuminen ja epäsäännölliset kuukautiset, jotka kuitenkin ilmenevät vain naispotilailla. Muita yleisiä sivuvaikutuksia ovat munuaisten toiminnan häiriöt ja poikkeamat verisolujen määrissä (punasolut, valkosolut ja verihiutaleet). Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Ammonapsin ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Ammonapsia ei saa antaa henkilöille, jotka saattavat olla yliherkkiä (allergisia) natriumfenyylibutyraatille tai Ammonapsin jollekin muulle aineelle. Sitä ei myöskään saa antaa raskaana oleville tai imettäville naisille.

Miksi Ammonaps on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea (CHMP) totesi, että ureakierron häiriö on vakava sairaus, johon on hyvin vähän hoitomahdollisuuksia, ja että Ammonapsin on osoitettu ehkäisevän ammoniakkipitoisuuksien liiallisen nousun. Siitä huolimatta, että käytettävissä olevien tietojen määrä on vähäinen, CHMP katsoi Ammonapsin hyötyjen olevan sen riskejä suuremmat, kun sitä käytetään ureakierron häiriöiden pitkäaikaisen hoidon lisänä. Komitea suositteli myyntiluvan myöntämistä Ammonapsille. Ammonapsin myyntilupa on myönnetty poikkeusehdoin, koska sairauden harvinaisuuden takia saatavissa oli vain vähän tietoja myyntilupaa myönnettäessä. Kun yhtiö toimitti pyydetty lisätiedot, poikkeuksellisten olosuhteiden katsottiin päättyneen 6. heinäkuuta 2004.

Muita tietoja Ammonapsista

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Ammonapsia varten 8. joulukuuta 1999. Myyntilupa uusittiin 8. joulukuuta 2004 ja 8. joulukuuta 2009. Myyntiluvan haltija on Swedish Orphan International AB.

Ammonapsia koskeva EPAR-lausunto kokonaisuudessaan on [tässä](#).

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 12-2009.