

Ammonaps
*sodium phenylbutyrate***EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára**

Ez a dokumentum az európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) az elvégzett vizsgálatokon alapuló értékelése miként vezetett a gyógyszer alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásokhoz.

Amennyiben saját betegségével vagy kezelésével kapcsolatban további információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót (amely ugyancsak az EPAR része), illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét! Ha Ön többet szeretne tudni a CHMP ajánlásainak alapjairól, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) tudományos indoklást!

Milyen típusú gyógyszer az Ammonaps?

Az Ammonaps egy nátrium-fenilbutiráttal nevezett hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Fehér színű, ovális tabletták (500 mg) és granulák (940 mg/g) formájában kapható.

Milyen betegségek esetén alkalmazható az Ammonaps?

Az Ammonaps-ot a karbamidciklus zavaraiiban szenvedő betegek kezelésére alkalmazzák. Ezeknek a betegeknek a szervezete nem képes megszabadulni a felesleges nitrogéntől, mert esetükben hiányzik néhány, a májban általában megtalálható enzim. A felesleges nitrogén a szervezetben ammónia formájában van jelen, amely mérgező, különösen az agyra.

Az Ammonaps-ot olyan betegek esetében használják, akiknél a következő enzimek közül egy vagy több hiányzik: karbamil-foszfát szintetáz, ornitin-transzkarbamiláz vagy arginin-szukcinát szintetáz. A betegség következő formáiban szenvedő betegek esetében alkalmazható:

- „korán kialakuló” betegség csecsemők esetében, akiknél az élet első hónapjában ezen enzimek egyike vagy az összes enzim teljes mértékben hiányzik;
- „későn kialakuló” betegség, amikor a betegeknél egy hónapnál idősebb korban egy enzim részlegesen hiányzik, és akiknek az agyát károsodás érte a vér magas ammóniaszintje miatt.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni az Ammonaps-ot?

Az Ammonaps-kezelést olyan orvosnak kell felügyelnie, aki megfelelő tapasztalatokkal rendelkezik a karbamidciklus zavaraiiban szenvedő betegek kezelésében.

Az Ammonaps-ot egy másik kezelés kiegészítéseként és – a nitrogén-felvétel csökkentése érdekében – egy speciális fehérjeszegény étrend mellett kell alkalmazni. Az Ammonaps napi adagját egyénre szabva kell megállapítani, és az függ a beteg étrendjétől, magasságától és testsúlyától. A megfelelő napi adag megállapításához rendszeres vérvizsgálatokat kell végezni. Az Ammonaps adagját egyenlő részekre kell osztani, és minden étkezés alkalmával be kell venni.

A tabletták felnőttek és gyermekek számára készültek, a granulák pedig csecsemőknek és a nyelni nem képes betegeknek. A granulákat az ételbe vagy italba kell keverni közvetlenül a bevétel előtt, vagy vízben kell feloldani, mielőtt azt a hason vagy az orron át vezetett csövön keresztül a gyomorba juttatják. Az Ammonaps-ot hosszú távon kell szedni, és addig kell alkalmazni, amíg a beteg sikeres májátültetést nem végeztek.

Hogyan fejtí ki a hatását az Ammonaps?

Fehérje fogyasztása során nitrogén kerül a szervezetbe, amely aztán ammóniává alakul. A karbamidciklus zavaraiiban szenvedő betegek szervezete nem képes megszabadulni az ammóniától, amely így magas szintet érhet el, és súlyos problémákhoz, például rokkantsághoz, agyi károsodáshoz és halálhoz vezethet. Az Ammonaps hatóanyaga, a nátrium-fenilbutirát, a szervezetben egy fenil-acetát nevű anyaggá alakul át. A fenil-acetát összekapcsolódik a nitrogéntartalmú glutamin aminosavval, egy olyan anyaggá alakulva, amelyet a szervezet a vesén keresztül képes kiválasztani. Ezáltal csökken a nitrogén szintje a szervezetben, csökkentve a termelt ammónia mennyiségét.

Milyen módszerekkel vizsgálták az Ammonaps-ot?

Az Ammonaps-ot 82, a karbamidciklus zavaraiiban szenvedő, Ammonaps-szal kezelt, és előzőleg betegségükre egyéb kezelést nem kapó betegen vizsgálták. Az Ammonaps-ot nem hasonlították össze más kezeléssel. A hatékonyság fő mértéke a túlélés volt, de a vizsgálat során mérték a hyperammoniaemiás epizódok számát (azon periódusok, amelyekben nagyon magas a vér ammóniaszintje), a kognitív fejlődést (a gondolkodás, tanulás és emlékezés képességének fejlődése), a növekedést, valamint a vér ammónia- és glutamintartalmát is.

Milyen előnyei voltak az Ammonaps-nak a vizsgálatok során?

Az Ammonaps-ot kapó újszülöttek esetében az összesített túlélési arány 80% körül volt. Ezzel szemben a nem kezelt újszülöttek általában életük első évében meghalnak. A túlélési arány magasabb volt azon betegek esetében, akiknél a betegség életük későbbi szakaszában alakult ki. A korai felismerés és a kezelés azonnali megkezdése lényeges a képességsökkenés kockázatának csökkentése szempontjából.

Milyen kockázatokkal jár az Ammonaps alkalmazása?

Az Ammonaps leggyakoribb (10 beteg közül több mint 1-nél előforduló) mellékhatásai az amenorrhoea (havi vérzés kimaradása) és a szabálytalan menstruációs ciklus, de ezek csak a termékeny női beteg esetében jelentkeznek. A gyakori mellékhatások között szerepel a rendellenes vesefunkció és vérkép (vörösvérsejtek, fehérvérsejtek, és vérlemezkék). Az Ammonaps használatához kapcsolódóan jelentett összes mellékhatást illetően, olvassa el a betegtájékoztatót!

Az Ammonaps nem alkalmazható olyan betegeknél, akik túlérzékenyek (allergiások) lehetnek a nátrium-fenilbutiráttal vagy a készítmény bármely más összetevőjével szemben. Az Ammonaps nem adható terhes nőknek, illetve szoptató anyáknak.

Miért engedélyezték az Ammonaps forgalomba hozatalát?

Az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megjegyezte, hogy a karbamidciklus zavarai egy olyan súlyos betegség, amelyre kevés terápiás lehetőség áll rendelkezésre, valamint, hogy az Ammonaps hatékonyan előzi meg a túl magas ammóniaszint kialakulását. Ezért, a rendelkezésre álló információ hiányosságai ellenére, a CHMP úgy döntött, hogy az Ammonaps alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, járulékos terápiaként alkalmazva a karbamidciklus zavarainak krónikus kezelésében. A bizottság javasolta az Ammonaps-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

Az Ammonaps forgalomba hozatalát „kivételes körülmények” között engedélyezték, mert a betegség ritka előfordulása miatt az engedély kiadásának időpontjában csak korlátozott mértékű információ állt rendelkezésre. Miután a cég a további szükséges információkat megadta, a „kivételes körülmények” 2004. július 6-án megszűntek.

Az Ammonaps-szal kapcsolatos egyéb információ

Az Európai Bizottság 1999. december 8-án az Ammonaps-ra vonatkozóan megadta az Európai Unióban egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt. A forgalomba hozatali engedélyt 2004. december 8-án és 2009. december 8-án megújították. A forgalomba hozatal jogosultja a svéd Orphan International AB.

Az Ammonaps-ra vonatkozó teljes EPAR [itt](#) található.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 12-2009.

