



**Ammonaps**  
**nātrija fenilbutirāts**

**EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai**

Šis dokuments ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums. Tajā ir paskaidrots, kā Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) novērtēja veiktos pētījumus, pirms sniegt ieteikumus par šo zāļu lietošanu.

Ja Jums ir vajadzīgas sīkākas ziņas par savu veselības stāvokli vai ārstēšanu, izlasiet zāļu lietošanas pamācību (kas arī ir daļa no EPAR) vai sazinieties ar savu ārstu vai farmaceitu. Ja Jums ir vajadzīgas sīkākas ziņas, kas pamato CHMP ieteikumus, izlasiet zinātnisko iztirzājumu (kas arī ir daļa no EPAR).

**Kas ir Ammonaps?**

Ammonaps ir zāles, kas satur aktīvo vielu fenilbutirātu. Tās ir pieejamas kā baltas, ovālas tabletes (500 mg) un kā granulas (940 mg/g).

**Kāpēc lieto Ammonaps?**

Ammonaps lieto, lai pacientiem ārstētu urīnvielas cikla traucējumus. Noteikta aknu fermenta trūkuma dēļ šie pacienti nespēj no organisma izdalīt slāpekļa atlikumu. Organismā slāpekļa atlikums ir amonjaka formā, kas ir toksisks, jo īpaši – smadzenēm.

Ammonaps lieto pacientiem, kuriem trūkst viens vai vairāki no šiem fermentiem: karbamilfosfātsintetāze, ornitīntranskarbamilāze vai arginīnsukcinātsintetāze. Šīs zāles var lietot pacientiem ar šādām slimības formām:

- „agrā sākuma” slimība mazuļiem, kuriem novēro pilnīgu viena vai vairāku šo fermentu trūkumu pirmā dzīves mēneša laikā;
- „vēlā sākuma” slimība pacientiem, kuriem novēro daļēju fermenta trūkumu vecumā virs viena mēneša un kuriem ir bijis smadzeņu bojājums, ko radījis augsts amonjaka līmenis.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

**Kā lieto Ammonaps?**

Ārstēšanu ar Ammonaps jāuzrauga ārstam, kam ir pieredze urīnvielas cikla traucējumu ārstēšanā.

Ammonaps lieto kā papildzāles citām terapijām un, ievērojot īpašu mazproteīnu diētu, lai mazinātu slāpekļa uzņemšanu. Ammonaps dienas devu pielāgo katram pacientam individuāli, un tā ir atkarīga no pacienta uztura, garuma un svara. Lai noteiktu pareizo dienas devu, ir jāveic regulāras asins analīzes.

Ammonaps devu sadala vienādās daļās, un tās lieto katrā ēdienreizē.

Tabletes ir paredzētas pieaugušajiem un bērniem, savukārt granulas domātas mazuļiem un pacientiem, kas tabletes nevar norīt. Granulas iejauc ēdienā vai dzērienā īsi pirms to ieņemšanas vai atšķaida ūdenī pirms tās ievada ar cauruli, kas caur vēdera dobumu vai caur degunu tiek virzīta kuņģī.

Ammonaps ir ilgstoši lietojamas zāles, un tās jālieto līdz pacientam ir veikta sekmīga aknu transplantācija.

**Kā Ammonaps darbojas?**

Ēdot proteīnus, organismā nonāk slāpekļlis, kas tad pārveidojas par amonjaku. Pacienti ar urīnvielas cikla traucējumiem nespēj no organisma izvadīt amonjaku. Rezultātā tas var sasniegt paaugstinātu

līmeni, kas rada smagus traucējumus, tai skaitā invaliditāti, smadzeņu bojājumus un nāves iestāšanos. *Ammonaps* aktīvā viela nātrija fenilbutirāts organismā tiek pārveidota par citu vielu, ko dēvē par fenilacetātu. Fenilacetāts savienojas ar aminoskābes glutamīnu, kas satur slāpekli. Tā rezultātā veidojas viela, ko no organisma var izvadīt nierēs. Pateicoties šim procesam, slāpekļa koncentrācija organismā krītas, mazinot saražotā amonjaka daudzumu.

### **Kā noritēja *Ammonaps* izpēte?**

*Ammonaps* iedarbību pētīja 82 pacientiem ar urīnvielas cikla traucējumiem, kuriem indicēja *Ammonaps* un kuri iepriekš nebija saņēmuši citas zāles šīs slimības ārstēšanai. *Ammonaps* netika salīdzinātas ar citām zālēm. Galvenais efektivitātes rādītājs bija dzīvildze, taču pētījumā noskaidroja arī hiperamoniēmijas epizožu skaitu (ļoti augsta amonjaka līmeņa asinīs gadījumus), kognitīvo (domāšanas, mācīšanās un atmiņas spēju) attīstību, augšanu, kā arī amonjaka un glutamīna līmeni asinīs.

### **Kāds ir *Ammonaps* iedarbīgums šajos pētījumos?**

Kopējais dzīvildzes īpatsvars bija aptuveni 80 % jaundzimušajiem, kas saņēma *Ammonaps*. Turpretim neārstētiem jaundzimušajiem nāve parasti iestājās pirmajā dzīves gadā. Dzīvildzes īpatsvars bija augstāks tiem pacientiem, kuriem slimība bija attīstījusies vēlākā dzīves posmā. Invaliditātes riska samazināšanai ir svarīgi slimību agri diagnosticēt un nekavējoties ārstēt.

### **Kāds pastāv risks, lietojot *Ammonaps*?**

Visbiežāk novērotās nevēlamās *Ammonaps* blakusparādības (vairāk nekā vienam pacientam no desmit) ir amenoreja (menstruāciju trūkums) un neregulāras menstruācijas (neregulāras mēnešreizes), taču šīs blakusparādības rodas tikai sievietēm reproduktīvā vecumā. Citas bieži novērojamas blakusparādības ir traucēta nieru darbība un asins ainas (sarkano asinsķermenīšu, balto asinsķermenīšu un trombocītu) neatbilstība normas robežām. Pilns visu *Ammonaps* izraisīto blakusparādību apraksts ir atrodams zāļu lietošanas pamācībā.

*Ammonaps* nedrīkst lietot cilvēki ar paaugstinātu jutību (alerģiju) pret nātrija fenilbutirātu vai kādu citu šo zāļu sastāvdaļu. Tās nedrīkst lietot pacientes, kam ir iestājusies grūtniecība vai kas baro bērnu ar krūti.

### **Kāpēc *Ammonaps* tika apstiprinātas?**

Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (*CHMP*) secināja, ka urīnvielas cikla traucējumi ir smaga slimība, kuras ārstēšanai ir pieejams maz zāļu, un ka ir pierādīta *Ammonaps* iedarbība pārāk augsta amonjaka līmeņa novēršanā. Tāpēc, neskatoties uz ierobežoto informācijas apjomu, *CHMP* nolēma, ka pacienta ieguvums, lietojot *Ammonaps* kā papildzāles hronisku urīnvielas cikla traucējumu kontrolēšanā, pārsniedz šo zāļu radīto risku. Komiteja ieteica izsniegt *Ammonaps* reģistrācijas apliecību. *Ammonaps* tika atļautas "izņēmuma kārtā" tāpēc, ka slimības retuma dēļ, apstiprināšanas brīdī bija pieejama visai ierobežota informācija. Tā kā attiecīgais uzņēmums iesniedza prasīto papildu informāciju, 2004. gada 6. jūlijā „izņēmuma kārtā” tika atcelta.

### **Cita informācija par *Ammonaps*.**

Eiropas Komisija 1999. gada 8. decembrī izsniedza *Ammonaps* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā. Reģistrācijas apliecību atjaunoja 2004. gada 8. decembrī un 2009. gada 8. decembrī. Reģistrācijas apliecības īpašnieks ir *Swedish Orphan International AB*.

Pilns *Ammonaps* EPAR teksts ir atrodams [šeit](#).

**Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 12./2009.**