

**Ammonaps**  
*fenylomaślan sodu***Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa**

*Niniejszy dokument stanowi streszczenie Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR). Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił przeprowadzone badania w celu ustalenia zaleceń w sprawie stosowania leku.*

*W celu uzyskania dodatkowych informacji na temat stanu chorobowego lub sposobu leczenia należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także stanowiącą część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą. W celu uzyskania dodatkowych informacji na podstawie zaleceń CHMP należy zapoznać się z dyskusją naukową (także stanowiącą część EPAR).*

**Co to jest Ammonaps?**

Ammonaps jest lekiem zawierającym substancję czynną fenylomaślan sodu. Preparat jest dostępny w postaci białych, owalnych tabletek (500 mg) oraz granulek (940 mg/g).

**W jakim celu stosuje się Ammonaps?**

Ammonaps stosuje się w leczeniu pacjentów z zaburzeniami cyklu mocznikowego. Pacjenci ci nie są w stanie pozbyć się z organizmu odpadów azotowych, ponieważ występuje u nich niedobór enzymów znajdujących się zwykle w wątrobie. W organizmie odpady azotowe występują w formie amoniaku, który jest szczególnie toksyczny dla mózgu.

Ammonaps stosuje się u pacjentów z niedoborem jednego z następujących enzymów: syntetaza karbamylfosforanowa, transkarnbamylaza ornitynowa lub syntetaza argininobursztynianu. Preparat stosuje się u pacjentów z następującymi postaciami choroby:

- „wczesna” choroba u niemowląt, które wykazują całkowity brak jednego lub większej ilości ww. enzymów w ciągu pierwszego miesiąca życia;
- „późna” choroba u pacjentów, u których po ukończeniu pierwszego miesiąca życia występuje częściowy niedobór enzymu i u których doszło do uszkodzenia mózgu wskutek wysokiego poziomu amoniaku we krwi.

Lek jest dostępny wyłącznie na receptę.

**Jak stosować Ammonaps?**

Leczenie preparatem Ammonaps powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz posiadający doświadczenie w leczeniu pacjentów z zaburzeniami cyklu mocznikowego.

Ammonaps podaje się w uzupełnieniu innych schematów leczenia, wraz ze specjalną niskobiałkową dietą w celu zmniejszenia wchłaniania azotu. Dawkę dobową preparatu Ammonaps ustala się osobno dla każdego pacjenta w zależności od jego diety, masy ciała i wzrostu. W celu ustalenia właściwej dawki dobowej występuje konieczność regularnego badania krwi. Dawkę preparatu Ammonaps należy podzielić na jednakowe części podawane z każdym posiłkiem.

Tabletki przeznaczone są dla dorosłych i dzieci, a granulki – dla niemowląt i pacjentów, którzy nie mogą połykać tabletek. Granulki miesza się z jedzeniem lub napojem bezpośrednio przed ich zażyciem, lub też rozpuszcza je w wodzie - w przypadku podawania przez rurkę prowadzącą z brzucha lub nosa do żołądka.

Preparat Ammonaps stosuje się w leczeniu długoterminowym i należy go podawać, dopóki pacjent nie przejdzie udanej transplantacji wątroby.

### **Jak działa Ammonaps?**

Spożywanie białek sprawia, że do organizmu dostaje się azot, który jest następnie przekształcany w amoniak. Pacjenci z zaburzeniami cyklu mocznikowego nie są w stanie pozbyć się amoniaku z organizmu, co prowadzi do jego wysokiego poziomu i poważnych następstw, w tym niepełnosprawności, uszkodzeń mózgu i śmierci. Substancja czynna preparatu Ammonaps, fenyloasmałan sodu, jest przekształcana w organizmie w substancję o nazwie octan fenylu. Octan fenylu łączy się z aminokwasem glutaminy, zawierającym azot, i tworzy substancję, która może zostać wydalona z organizmu przez nerki. Obniżenie ilości wytwarzanego amoniaku pomaga w zmniejszeniu poziomu azotu w organizmie.

### **Jak badano Ammonaps?**

Preparat Ammonaps badano u 82 pacjentów z zaburzeniami cyklu mocznikowego, którzy byli leczeni preparatem Ammonaps, a wcześniej nie otrzymywali innego leczenia przeciw chorobie. Preparatu Ammonaps nie porównywano z żadnym innym lekiem. Główną miarą skuteczności było przeżycie, lecz w badaniu oceniano także liczbę przypadków hiperoanemii (okresy, w których występuje bardzo wysoki poziom amoniaku), rozwój zdolności poznawczych (rozwijanie umiejętności myślenia, uczenia się i zapamiętywania), wzrost oraz poziom amoniaku i glutaminy we krwi.

### **Jakie korzyści ze stosowania preparatu Ammonaps zaobserwowano w badaniach?**

U noworodków otrzymujących preparat Ammonaps ogólny współczynnik przeżycia wyniósł około 80%; noworodki, którym nie podaje się żadnych leków, umierają natomiast zazwyczaj w ciągu pierwszego roku życia. Współczynnik przeżycia był wyższy u pacjentów, u których choroba rozwinęła się w późniejszym okresie życia. Wczesna diagnoza i natychmiastowe leczenie są istotne w celu zmniejszenia ryzyka upośledzenia.

### **Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem preparatu Ammonaps?**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem preparatu Ammonaps (obserwowane u więcej niż 1 pacjenta na 10) to brak miesiączki lub nieregularne miesiączki; objawy te występują tylko u pacjentek w wieku rozrodczym. Do innych częstych działań niepożądanych należą zaburzenia czynności nerek i liczby krwinek (erytrocytów, leukocytów i płytek krwi). Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem preparatu Ammonaps znajduje się w ulotce dla pacjenta. Preparatu Ammonaps nie należy stosować u osób, u których może występować nadwrażliwość (uczulenie) na fenyloasmałan sodu lub inny składnik preparatu. Preparatu nie należy stosować u pacjentek w ciąży lub karmiących piersią.

### **Na jakiej podstawie zatwierdzono preparat Ammonaps?**

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) uznał, że zaburzenia cyklu mocznikowego są poważną chorobą, w przypadku której istnieje niewielka ilość schematów leczenia, i że w przypadku preparatu Ammonaps wykazano, że zapobiega on powstawaniu zbyt wysokiego poziomu amoniaku. Dlatego też, mimo że dostępne informacje są ograniczone, komitet uznał, że korzyści związane ze stosowaniem preparatu Ammonaps są większe niż ryzyko związane ze stosowaniem go w leczeniu wspomagającym w przewlekłym leczeniu zaburzeń cyklu mocznikowego. Komitet zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie preparatu Ammonaps do obrotu. Ammonaps dopuszczono w „wyjątkowych okolicznościach”, gdyż choroba jest rzadka i w momencie dopuszczania preparatu do obrotu dostępna była jedynie niewielka ilość informacji na jego temat. Ponieważ firma dostarczyła dodatkowe wymagane informacje, wyjątkowe okoliczności wygasły w dniu 6 lipca 2004 r.

### **Inne informacje dotyczące preparatu Ammonaps:**

W dniu 8 grudnia 1999 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie preparatu Ammonaps do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej. Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu odnowiono w dniu 8 grudnia 2004 r. i 8 grudnia 2009 r. Podmiotem odpowiedzialnym posiadającym pozwolenie na dopuszczenie do obrotu jest firma Swedish Orphan International AB.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące preparatu Ammonaps znajduje się [tutaj](#).

**Data ostatniej aktualizacji: 12-2009.**