



**Ammonaps**  
*fenilbutirat de sodiu*

**Rezumat EPAR destinat publicului**

*Prezentul document este un rezumat al Raportului european public de evaluare (EPAR). Documentul explică modul în care Comitetul pentru produse medicamentoase de uz uman (CHMP) a evaluat studiile efectuate pentru a emite recomandările privind modul de utilizare a medicamentului.*

*Dacă aveți nevoie de informații suplimentare privind starea dumneavoastră de sănătate sau tratamentul dumneavoastră, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului. Dacă doriți informații suplimentare pe baza recomandărilor CHMP, citiți Dezbaterrea științifică (care face parte, de asemenea, din EPAR).*

**Ce este Ammonaps?**

Ammonaps este un medicament care conține substanța activă fenilbutirat de sodiu. Acesta este disponibil sub formă de comprimate ovale de culoare albă (500 mg) și sub formă de granule (940 mg/g).

**Pentru ce se utilizează Ammonaps?**

Ammonaps se utilizează pentru tratarea pacienților cu tulburări ale ciclului ureei. Acești pacienți nu pot elimina azotul rezidual din organism deoarece le lipsesc unele enzime care se găsesc, de obicei, în ficat. În organism, azotul rezidual se găsește sub formă de amoniac, care este toxic, în special pentru creier.

Ammonaps se administrează pacienților cărora le lipsesc una sau mai multe dintre următoarele enzime: carbamil-fosfat-sintetază, ornitin-transcarbamilază sau argininosuccinat-sintetază. Se poate utiliza la pacienți care prezintă următoarele forme ale bolii:

- boală cu „debut timpuriu” la sugarii care prezintă o lipsă totală a uneia sau mai multora dintre aceste enzime în cursul primei luni de viață;
- boală cu „debut întârziat” la pacienții care prezintă o lipsă parțială a unei enzime după vârsta de o lună și care au suferit leziuni cerebrale cauzate de concentrațiile ridicate de amoniac din sânge.

Medicamentul se poate elibera numai pe bază de rețetă.

**Cum se utilizează Ammonaps?**

Tratamentul cu Ammonaps trebuie supravegheat de un medic cu experiență în tratarea pacienților cu tulburări ale ciclului ureei.

Ammonaps se utilizează ca adjuvant la alte tratamente, împreună cu un regim alimentar special sărac în proteine pentru a reduce absorbția de azot. Doza zilnică de Ammonaps este ajustată pentru fiecare pacient în parte și depinde de regimul alimentar, înălțimea și greutatea pacientului. Sunt necesare analize de sânge periodice pentru determinarea dozei zilnice corecte. Doza de Ammonaps trebuie împărțită în cantități egale, administrate la fiecare masă.

Comprimatele sunt pentru adulți și copii, iar granulele se administrează sugarilor și pacienților care nu pot înghiți comprimate. Granulele sunt fie amestecate în alimente sau băuturi imediat înainte de a fi consumate, fie dizolvate în apă înainte de a fi administrate printr-un tub care ajunge în stomac prin abdomen sau nas.

Ammonaps este un tratament pe termen lung și trebuie utilizat până când pacientului i se efectuează un transplant hepatic reușit.

### **Cum acționează Ammonaps?**

Consumul de proteine aduce azot în organism, care este apoi transformat în amoniac. Pacienții cu tulburări ale ciclului ureei nu pot elimina amoniacul din organism, prin urmare, acesta poate atinge concentrații ridicate, provocând probleme grave, între care handicap, leziuni cerebrale și deces. Substanța activă din Ammonaps, fenilbutiratul de sodiu, este convertită în organism într-o substanță numită fenilacetat. Fenilacetatul se combină cu aminoacidul glutamină, care conține azot, formând o substanță ce poate fi eliminată din organism pe cale renală. Acest lucru permite scăderea concentrațiilor de azot din organism, reducând cantitatea de amoniac produsă.

### **Cum a fost studiat Ammonaps?**

Ammonaps a fost studiat la 82 de pacienți cu tulburări ale ciclului ureei care au fost tratați cu Ammonaps și care nu urmaseră în prealabil alte tratamente pentru boala de care sufereau. Ammonaps nu a fost comparat cu alte tratamente. Principala măsură de eficacitate a fost supraviețuirea, dar studiul a evaluat, de asemenea, numărul de episoade hiperamoniemice (perioade cu concentrații foarte ridicate de amoniac în sânge), dezvoltarea cognitivă (dezvoltarea capacității de gândire, învățare și memorare), creșterea și valorile sanguine de amoniac și glutamină.

### **Ce beneficii a prezentat Ammonaps în timpul studiilor?**

Rata de supraviețuire totală a fost de aproximativ 80% la nou-născuții care au fost tratați cu Ammonaps. Dimpotrivă, nou-născuții netratați înregistrează, de obicei, decesul în cursul primului an de viață. Rata de supraviețuire a fost mai ridicată la pacienții care au dezvoltat boala mai târziu în viață. Diagnosticul timpuriu și tratamentul imediat sunt importante pentru reducerea riscului de handicap.

### **Care sunt riscurile asociate cu Ammonaps?**

Cele mai frecvente efecte secundare asociate cu Ammonaps (observate la mai mult de 1 din 10 pacienți) sunt: amenoreea (absența ciclurilor menstruale) și menstruația neregulată (cicluri menstruale neregulate), dar acestea se produc doar la pacientele cu potențial fertil. Alte efecte secundare frecvente includ: disfuncție renală și hemograme (numărul de eritrocite, leucocite și trombocite) anormale. Pentru lista completă a tuturor efectelor secundare raportate asociate cu Ammonaps, a se consulta prospectul.

Ammonaps nu se administrează persoanelor care pot prezenta hipersensibilitate (alergie) la fenilbutiratul de sodiu sau la oricare alt ingredient al acestui medicament. Este interzisă administrarea medicamentului la pacientele gravide sau care alăptează.

### **De ce a fost aprobat Ammonaps?**

Comitetul pentru produse medicamentoase de uz uman (CHMP) a remarcat că tulburările ciclului ureei reprezintă o boală gravă pentru care există puține tratamente și că s-a demonstrat că Ammonaps împiedică creșterea excesivă a concentrațiilor de amoniac. Prin urmare, în pofida informațiilor limitate disponibile, CHMP a decis că beneficiile Ammonaps sunt mai mari decât riscurile asociate acestuia ca medicament adjuvant în tratamentul pe termen lung al tulburărilor ciclului ureei. Comitetul a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru Ammonaps.

Ammonaps a fost autorizat în „circumstanțe excepționale” deoarece la momentul aprobării, întrucât boala este rară, informațiile disponibile erau limitate. Întrucât societatea a pus la dispoziție informațiile suplimentare solicitate, statutul de „circumstanțe excepționale” a luat sfârșit la 6 iulie 2004.

### **Alte informații despre Ammonaps:**

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Ammonaps, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 8 decembrie 1999. Autorizația de introducere pe piață a fost reînnoită la 8 decembrie 2004 și la 8 decembrie 2009. Titularul autorizației de introducere pe piață este Swedish Orphan International AB.

EPAR-ul complet pentru Ammonaps este disponibil [aici](#).

**Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 12-2009.**