

**Ammonaps**  
*natrijev fenilbutirat*

**Povzetek EPAR za javnost**

*Ta dokument je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR). Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil opravljene študije, na podlagi katerih je oblikoval priporočila glede uporabe zdravila.*

*Če potrebujete več informacij o svojem zdravstvenem stanju ali zdravljenju, preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte s svojim zdravnikom ali farmacevtom. Če želite več informacij, ki temeljijo na priporočilih CHMP, preberite znanstveno razpravo (ki je prav tako del EPAR).*

**Kaj je zdravilo Ammonaps?**

Ammonaps je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino natrijev fenilbutirat. Na voljo je v obliki belih ovalnih tablet (500 mg) in zrn (940 mg/g).

**Za kaj se zdravilo Ammonaps uporablja?**

Zdravilo Ammonaps se uporablja za zdravljenje bolnikov z motnjami v ciklusu sečnine. Tem bolnikom primanjkuje nekaterih encimov, ki so navadno v jetrih, in zato iz telesa ne morejo izločiti odpadnega dušika. Odpadni dušik se v telesu nahaja v obliki amoniaka, ki je še zlasti strupen za možgane.

Zdravilo Ammonaps se uporablja pri bolnikih, ki jim primanjkuje enega ali več naslednjih encimov: karbamil-fosfat-sintetaze, ornitin-transkarbamilaze ali argininosukcinat-sintetaze. Uporablja se lahko pri bolnikih z naslednjimi oblikami bolezni:

- pri zgodnji bolezni pri dojenčkih, ki izkazujejo popolno pomanjkanje enega ali več teh encimov v prvem mesecu življenja;
- pri zakasnjem pojavu bolezni pri bolnikih, ki kažejo delno pomanjkanje encima po enem mesecu in so utrpeli poškodbo možganov zaradi visoke ravni amoniaka v krvi.

Zdravilo se dobi samo na recept.

**Kako se zdravilo Ammonaps uporablja?**

Zdravljenje z zdravilom Ammonaps mora nadzorovati zdravnik z izkušnjami v obravnavi bolnikov z motnjami ciklusa sečnine.

Zdravilo Ammonaps se uporablja kot dodatek drugim zdravljenjem ter s posebno dieto z malo beljakovinami za zmanjšanje vnosa dušika. Dnevni odmerek zdravila Ammonaps je prilagojen za vsakega bolnika posebej in je odvisen od bolnikove prehrane, višine in telesne mase. Da določimo pravilni dnevni odmerek, so potrebne redne preiskave krvi. Odmerek zdravila Ammonaps je treba razdeliti na enake dele in jih vzeti skupaj z obrokom.

Tablete so namenjene odraslim in otrokom, zrnca pa dojenčkom in bolnikom, ki tablet ne morejo pogoltniti. Zrnca je treba vmešati v hrano ali pijačo tik pred zaužitjem ali pa jih raztopiti v vodi, preden se dovedejo po cevki, ki vodi skozi trebuh ali nos, v želodec.

Zdravilo Ammonaps je namenjeno dolgotrajnemu zdravljenju in ga je treba jemati ves čas do uspešne presaditve jeter.

### **Kako zdravilo Ammonaps deluje?**

Z uživanjem beljakovin se v telo vnese dušik, ki se nato pretvori v amoniak. Bolniki z motnjami ciklusa sečnine ne morejo izločiti amoniaka iz telesa, kar pomeni, da lahko ta doseže zelo visoke ravni, ki lahko povzročijo resne težave, vključno z invalidnostjo, poškodbo možganov in smrtjo. Zdravilna učinkovina zdravila Ammonaps, natrijev fenilbutirat, se v telesu pretvori v snov, imenovano fenilacetat. Fenilacetat se veže z aminokislino glutamin, ki vsebuje dušik, in tvori snov, ki jo lahko ledvice izločijo iz telesa. Tako se ravni dušika v telesu znižajo, količina proizvedenega amoniaka pa se zmanjša.

### **Kako je bilo zdravilo Ammonaps raziskano?**

Zdravilo Ammonaps so proučevali pri 82 bolnikih z motnjo ciklusa sečnine, ki so prejeli zdravilo Ammonaps in zaradi svoje bolezni še niso bili zdravljeni. Zdravila Ammonaps niso primerjali z nobenim drugim zdravilom. Glavno merilo učinkovitosti je bilo preživetje, vendar pa je študija proučevala tudi število hiperamoniemičnih dogodkov (obdobji zelo visoke ravni amoniaka v krvi), kognitivni razvoj (razvoj sposobnosti mišljenja, učenja in spominjanja), rast ter ravni amoniaka in glutamina.

### **Kakšne koristi je zdravilo Ammonaps izkazalo med študijami?**

Pri novorojenčkih, ki so prejeli zdravilo Ammonaps, je bila skupna stopnja preživetja 80 %. Nasprotno pa nezdravljeni novorojenčki navadno umrejo v prvem letu življenja. Stopnja preživetja je bila višja pri bolnikih, pri katerih se je bolezen razvila kasneje v življenju. Zgodnja diagnoza in takojšnje zdravljenje sta pomembna za zmanjšanje tveganja invalidnosti.

### **Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Ammonaps?**

Najpogostejša neželena učinka zdravila Ammonaps (opažena pri več kot 1 bolniku od 10) sta amenoreja (izostanek menstruacij) in neredna menstruacija, vendar se to pojavi samo pri odraslih bolnicah v rodni dobi. Drugi pogosti neželeni učinki so nenormalno delovanje ledvic in nenormalne koncentracije krvnih celic (rdečih krvničk, belih krvničk in krvnih ploščic). Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Ammonaps, glejte navodilo za uporabo. Zdravila Ammonaps ne smejo uporabljati osebe, ki utegnejo biti preobčutljive za (alergične na) natrijev fenilbutirat ali katero koli drugo sestavino zdravila. Ne smejo ga uporabljati bolnice, ki so noseče ali dojijo.

### **Zakaj je bilo zdravilo Ammonaps odobreno?**

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je poudaril, da je motnja ciklusa sečnine resna bolezen, možnosti zdravljenja pa zelo malo, in da se je izkazala učinkovitost zdravila Ammonaps pri preprečevanju prevelikega porasta ravni amoniaka. Tako je odbor kljub omejenim informacijam sklenil, da so koristi zdravila Ammonaps kot dodatnega zdravljenja pri kronični obravnavi motenj ciklusa sečnine večje od z njim povezanih tveganj. Odbor je priporočil, da se za zdravilo Ammonaps odobri dovoljenje za promet.

Zdravilo Ammonaps je bilo sprva odobreno v „izjemnih okoliščinah“, saj so bile zaradi redkosti bolezni ob odobritvi dovoljenja na voljo le omejene informacije. Ker je družba predložila dodatne zahtevane podatke, so bile „izjemne okoliščine“ razveljavljene 6. julija 2004.

### **Druge informacije o zdravilu Ammonaps:**

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Ammonaps, veljavno po vsej Evropski uniji, odobrila dne 8. decembra 1999. Dovoljenje za promet z zdravilom je bilo podaljšano 8. decembra 2004 in 8. decembra 2009. Imetnik dovoljenja za promet z zdravilom je družba Swedish Orphan International AB.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Ammonaps je na voljo [tukaj](#).

**Povzetek je bil nazadnje posodobljen 12-2009.**