

Ammonaps
fenilbutirato de sodio

Resumen del EPAR para el público general

En el presente documento se resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR). En él se explica cómo el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) ha evaluado los estudios realizados con el medicamento a fin de emitir unas recomendaciones sobre su uso. Si desea más información sobre su enfermedad o el tratamiento de la misma, le aconsejamos que lea el prospecto (incluido en el EPAR) o pregunte a su médico o su farmacéutico. Si desea más información sobre el fundamento en el que se han basado las recomendaciones del CHMP, le aconsejamos que lea el Debate Científico (incluido en el EPAR).

¿Qué es Ammonaps?

Ammonaps es un medicamento que contiene el principio activo fenilbutirato de sodio y se presenta en forma de comprimidos ovalados de color blanco (500 mg) o como granulado (940 mg/g).

¿Para qué se utiliza Ammonaps?

Ammonaps se utiliza para tratar a pacientes con trastornos del ciclo de la urea, que no pueden eliminar los residuos de nitrógeno del organismo porque les faltan algunas enzimas que suelen encontrarse en el hígado. Los residuos de nitrógeno se presentan en el organismo en forma de amoníaco, una sustancia tóxica, especialmente para el cerebro.

Ammonaps se utiliza en personas a las que les falta una o más de las siguientes enzimas: carbamilfosfato sintetasa, ornitina transcarbamilasa o argininosuccinato sintetasa. Puede usarse en pacientes que padecen las siguientes formas de la enfermedad:

- enfermedad de aparición precoz en lactantes que desde el primer mes de vida carecen de una o más de las enzimas mencionadas;
- enfermedad de aparición tardía en pacientes que carecen parcialmente de una enzima pasado el mes de vida y han padecido daños cerebrales producidos por una alta concentración de amoníaco.

Este medicamento sólo podrá dispensarse con receta médica.

¿Cómo se usa Ammonaps?

El tratamiento con Ammonaps deberá ser supervisado por un médico con experiencia en tratar a pacientes con trastornos del ciclo de la urea.

Ammonaps se utiliza como tratamiento complementario junto con una dieta especial baja en proteínas para reducir el aporte de nitrógeno. La dosis diaria de Ammonaps se ajusta individualmente en cada paciente en función de su dieta, altura y peso. Es necesario realizar análisis de sangre regulares para ver cuál es la dosis diaria correcta. La dosis de Ammonaps debe dividirse en cantidades iguales y administrarse con cada comida.

Los comprimidos son para adultos y niños, y el granulado se utiliza en bebés y en pacientes que no pueden tragar comprimidos. El granulado se mezcla con la comida o la bebida inmediatamente antes de tomarlo o se disuelve en agua antes de administrarse por un tubo que va de la tripa o la nariz hasta el estómago.

Ammonaps es un tratamiento a largo plazo y debe tomarse hasta que el paciente se somete con éxito a un trasplante de hígado.

¿Cómo actúa Ammonaps?

La ingesta de proteínas aporta al organismo nitrógeno, que una vez allí se transforma en amoníaco; las personas que padecen trastornos del ciclo de la urea no consiguen expulsar el amoníaco del organismo, con lo que este puede alcanzar altas concentraciones que provocan problemas graves, como discapacidad, daños cerebrales e incluso muerte. El principio activo de Ammonaps, el fenilbutirato de sodio, se convierte en el organismo en una sustancia llamada fenilacetato que se combina con el aminoácido glutamina (que contiene nitrógeno) formando una sustancia que pueden eliminarse del organismo a través de los riñones. De este modo se reduce la concentración de nitrógeno en el organismo, y con ello la cantidad de amoníaco que se produce.

¿Qué tipo de estudios se han realizado con Ammonaps?

Ammonaps se ha estudiado en 82 pacientes con trastornos del ciclo de la urea, que no habían ningún recibido tratamiento para su enfermedad anteriormente y a los que se trató con Ammonaps sin compararlo con ningún otro tratamiento. El principal criterio para medir su eficacia fue la supervivencia, pero en el estudio también se observó el número de episodios de hiperamoniemia (periodos de mucha concentración de amoníaco en la sangre), el desarrollo cognitivo (desarrollo de la capacidad de pensar, aprender y recordar), el crecimiento y las concentraciones de amoníaco y glutamina en la sangre.

¿Qué beneficio ha demostrado tener Ammonaps durante los estudios?

La tasa general de supervivencia fue de aproximadamente el 80% en los recién nacidos a los que se administró Ammonaps, cuando los recién nacidos no tratados suelen morir durante el primer año de vida. La tasa de supervivencia fue mayor en pacientes que habían desarrollado la enfermedad a edades más avanzadas. El diagnóstico precoz y el tratamiento inmediato son importantes para reducir el riesgo de discapacidad.

¿Cuál es el riesgo asociado a Ammonaps?

Los efectos secundarios más frecuentes de Ammonaps (observados en más de 1 paciente de cada 10) son la amenorrea (falta de reglas) y la menstruación irregular, que solo aparecen en mujeres en edad fértil. Otros efectos secundarios habituales son una función renal y un recuento de glóbulos anómalos (glóbulos rojos, glóbulos blancos y plaquetas). La lista completa de efectos secundarios comunicados sobre Ammonaps puede consultarse en el prospecto.

Ammonaps no está recomendado en personas con posible hipersensibilidad (alergia) al fenilbutirato de sodio o a cualquiera de los demás componentes. Tampoco debe administrarse a mujeres embarazadas o que amamantan.

¿Por qué se ha aprobado Ammonaps?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) observó que los trastornos del ciclo de la urea son una enfermedad grave que tiene pocas posibilidades de tratamiento, y que se ha demostrado que Ammonaps evita que una excesiva concentración del amoníaco. Por ello, pese a la escasa información disponible, el CHMP decidió que los beneficios de Ammonaps son mayores que sus riesgos como terapia auxiliar en la gestión crónica de los trastornos del ciclo de la urea. En consecuencia, el Comité recomendó que se autorizase su comercialización.

Ammonaps fue autorizado en «circunstancias excepcionales» ya que, por tratarse de una enfermedad rara, se disponía de una información limitada sobre el medicamento en el momento de su autorización. Sin embargo, dichas «circunstancias excepcionales» dejaron de aplicarse el 6 de julio de 2004, una vez la empresa presentó la información complementaria que se le había solicitado.

Otras informaciones sobre Ammonaps:

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Ammonaps el 8 de diciembre de 1999, la cual fue renovada el 8 de diciembre de 2004 y el 8 de diciembre de 2009. El titular de la autorización de comercialización es Swedish Orphan International AB.

El texto completo del EPAR de Ammonaps puede encontrarse [aquí](#).

Fecha de la última actualización del presente resumen: 12-2009.