



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/348518/2011
EMA/H/C/000461

Resumen del EPAR para el público general

Carbaglu

ácido carglúmico

En el presente documento se resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Carbaglu. En él se explica cómo el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización y unas recomendaciones sobre las condiciones de su uso.

¿Qué es Carbaglu?

Carbaglu es un medicamento que contiene el principio activo ácido carglúmico. Se presenta en forma de comprimidos dispersables, es decir, que se pueden dispersar (mezclar) en agua.

¿Para qué se utiliza Carbaglu?

Carbaglu se utiliza para tratar la hiperamonemia (alta concentración de amoniaco en la sangre) en pacientes que padecen las siguientes enfermedades metabólicas:

- Déficit de N-acetilglutamato-sintasa (NAGS). Quienes padecen esta enfermedad crónica carecen de una enzima llamada NAGS, que normalmente ayuda a descomponer el amoniaco. Sin esta enzima, el amoniaco no puede descomponerse y se acumula en la sangre.
- Algunas acidemias orgánicas (isovalérica, metilmalónica y propiónica): los pacientes carecen de algunas enzimas que intervienen en el metabolismo de las proteínas.

Dado que el escaso número de pacientes afectados por estas enfermedades, se las considera «raras», por lo que Carbaglu fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) en distintas fechas (véase más abajo).

Este medicamento sólo podrá dispensarse con receta médica.



¿Cómo se usa Carbaglu?

El tratamiento con Carbaglu debe ser instaurado por un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con enfermedades metabólicas.

En pacientes con déficit de NAGS, el tratamiento se inicia el primer día de vida, y se mantiene durante toda la vida del paciente. En pacientes con acidemias orgánicas, el tratamiento se inicia cuando el paciente sufre una crisis de hiperamonemia y se mantiene hasta que esta ha cesado.

La primera dosis diaria de Carbaglu debe ser de 100 mg por kilogramo de peso corporal, y de hasta 250 mg/kg en caso necesario. La dosis debe ajustarse después para mantener unas concentraciones de amoniaco en sangre normales. Los comprimidos deben dispersarse (mezclarse) en una pequeña cantidad de agua antes de administrarse al paciente. Pueden dividirse fácilmente en dos mitades iguales.

¿Cómo actúa Carbaglu?

Cuando el amoniaco se acumula en la sangre resulta tóxico para el organismo, especialmente para el cerebro. Carbaglu tiene una estructura muy parecida a la del N-acetilglutamato, que activa una enzima que descompone el amoniaco. En consecuencia, Carbaglu ayuda a descomponer el amoniaco, reduciendo así las concentraciones de amoniaco en sangre y sus efectos tóxicos.

¿Qué tipo de estudios se han realizado con Carbaglu?

Carbaglu se ha estudiado en 20 pacientes, 12 de los cuales padecían déficit de NAGS y fueron tratados durante un promedio de tres años. Los otros ocho pacientes fueron tratados por una hiperamonemia de distinta causa. La empresa también presentó información de los estudios publicados sobre otros cuatro pacientes tratados con el principio activo de Carbaglu.

Carbaglu se ha estudiado también en 57 pacientes (casi dos terceras partes recién nacidos) con acidemia isovalérica, acidemia metilmalónica o acidemia propiónica, que fueron tratados con Carbaglu durante sus crisis de hiperamonemia.

En todos los estudios, el criterio principal de valoración de la eficacia fue la variación de la concentración de amoniaco en la sangre.

¿Qué beneficio ha demostrado tener Carbaglu durante los estudios?

En los pacientes con déficit de NAGS, los niveles de amoniaco volvieron a la normalidad después del tratamiento con Carbaglu. Se pudo mantener estables a los pacientes que tomaban Carbaglu sin necesidad de dieta especial ni de tomar otros medicamentos.

En los pacientes con acidemia isovalérica, acidemia metilmalónica o acidemia propiónica, también se observó un descenso en los niveles de amoniaco en la sangre, tras una media de 5,5 días de tratamiento.

¿Cuál es el riesgo asociado a Carbaglu?

El efecto secundario más frecuente de Carbaglu (observado en 1 a 10 pacientes de cada 100) es un aumento de la sudoración. La lista completa de efectos secundarios comunicados sobre Carbaglu puede consultarse en el prospecto.

Carbaglu no debe utilizarse en personas que pudieran ser hipersensibles (alérgicas) al ácido carglúmico o a cualquier otro de los componentes del medicamento. Tampoco debe administrarse a mujeres en periodo de lactancia.

¿Por qué se ha aprobado Carbaglu?

El CHMP concluyó que Carbaglu es eficaz para reducir a niveles normales la concentración de amoniaco en la sangre, y decidió que los beneficios de Carbaglu son mayores que sus riesgos. En consecuencia, el Comité recomendó autorizar su comercialización.

Otras informaciones sobre Carbaglu:

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Carbaglu a Orphan Europe el 24 de enero de 2003. La autorización de comercialización tiene validez ilimitada.

Los resúmenes de los dictámenes del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Carbaglu puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations) ([déficit de NAGS](#): 18 de octubre de 2000; [acidemia isovalérica](#): 7 de noviembre de 2008; [acidemia metilmalónica](#): 7 de noviembre de 2008; [acidemia propiónica](#): 7 de noviembre de 2008).

El EPAR completo de Carbaglu puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Para más información sobre el tratamiento con Carbaglu, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 05-2011.