



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kokkuvõte üldsusele

Carbaglu

kargluumhape

Käesolev dokument on ravimi Carbaglu Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas inimravimite komitee hindas ravimit ja otsustas toetada müügiloa andmist; samuti esitatakse komitee soovitused, kuidas ravimit kasutada.

Mis on Carbaglu?

Carbaglu on ravim, mis sisaldab toimeainena kargluumhapet. Seda turustatakse disperseerivate tablettidena. „Disperseeruv“ tähendab, et tablette võib segada veega.

Milleks Carbaglud kasutatakse?

Carbaglud kasutatakse hüperammoneemiaga (vere suur ammoniaagisisaldus) patsientide ravimiseks, kellel on järgmised ainevahetushaigused:

- N-atsetüülglutamaadi süntetaasi (NAGS) vaegus. Selle eluaegse haigusega patsientidel puudub maksaensüüm (N-atsetüülglutamaadi süntetaas NAGS), mis aitab tavaliselt kaasa ammoniaagi lagunemisele. Kui see ensüüm puudub, siis ammoniaak ei lagune ja koguneb verre.
- Teatud orgaanilised atsideemid (isovalerüül-atsideemia, metüülmaloon-atsideemia ja propioon-atsideemia), kui patsientidel on valkude metabolismis osalevate teatud ensüümide vaegus.

Et nende haigustega patsiente on vähe ja need haigused esinevad harva, nimetati Carbaglu eri haiguste jaoks eri kuupäevadel (vt allpool) harvikravimiks.

Carbaglu on retseptiravim.

Kuidas Carbaglud kasutatakse?

Carbaglu ravi tohib alustada üksnes ainevahetushaigustega patsientide ravis kogenud arst.



NAGS-i vaegusega patsientidel võib ravi alustada esimesel elupäeval ja ravimit kasutatakse kogu elu. Orgaaniliste atsideemiatega patsientide ravi alustakse, kui patsiendil tekib hüperammoneemia ja jätkatakse kuni selle kadumiseni.

Carbaglu algannus on 100 mg kehakaalu kg kohta ööpäevas, kuid vajaduse korral tohib kasutada ainult kuni 250 mg/kg. Annust võib seejärel kohandada, et säilitada normaalne ammoniaagisisaldus veres. Enne patsiendile manustamist tuleb tabletid segada väikese koguse veega. Tablette saab kergesti pooleks murda.

Kuidas Carbaglu toimib?

Verre kogunenud ammoniaak on organismile, eriti ajule, mürgine. Carbaglu on ehituselt väga sarnane N-atsetüülglutamaadile, mis aktiveerib ammoniaaki lagundavat ensüümi. Seega aitab Carbaglu lagundada ammoniaaki ja vähendab ammoniaagi kontsentratsiooni veres ning vähendab mürgist toimet.

Kuidas Carbaglud uuriti?

Carbaglud uuriti 20 patsiendil, sh 12 NAGS-i vaegusega patsiendil, keda raviti keskmiselt ligikaudu 3 aastat. Ülejäänud 8 patsiendil raviti muudest põhjustest tingitud hüperammoneemiat. Ettevõtte esitas ka kirjanduses avaldatud teabe veel 4 patsienti kohta, keda raviti Carbaglu toimeainega.

Lisaks uuriti Carbaglud 57 (sh umbes 2/3 vastsündinuid) isovalerüül-atsideemia, metüülmaloon-atsideemia ja propioon-atsideemiaga patsiendil, keda raviti Carbagluga hüperammoneemiakriisi ajal.

Kõikides uuringutes oli efektiivsuse põhinäitaja ammoniaagi sisaldus veres.

Milles seisnes uuringute põhjal Carbaglu kasulikkus?

NAGS-i vaegusega patsientidel saavutati Carbaglu ravi järel ammoniaagisisalduse normaliseerumine. Carbaglud saavatel patsientidel saavutati stabiilsus ilma piiranguteta nende toitumises ja ilma teiste ravimiteta.

Isovalerüül-atsideemia, metüülmaloon-atsideemia ja propioon-atsideemiaga patsientidel vähendas Carbaglu peale keskmiselt 5,5-päevast ravi ammoniaagi sisaldust veres.

Mis riskid Carbagluga kaasnevad?

Carbaglu kõige sagedam kõrvalnäht (esinenud 1–10 patsiendil 100st) on liighigistamine. Carbaglu kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Carbaglud ei tohi kasutada patsiendid, kes võivad olla kargluumhappe või selle ravimi mis tahes muu koostisaine suhtes ülitundlikud (allergilised). Carbaglud ei tohi kasutada rasedatel ja imetavatel naistel.

Miks Carbaglu heaks kiideti?

Inimravimite komitee järeldas, et Carbaglu oli efektiivne vere ammoniaagisisalduse normaliseerimisel ja otsustas, et Carbaglu kasulikkus on suurem, kui sellega kaasnevad riskid. Komitee soovitas anda ravimi müügiloa.

Muu teave Carbaglu kohta

Euroopa Komisjon andis Carbaglu müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, ettevõttele Orphan Europe 24. jaanuaril 2003. Müügiluba on tähtajatu.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Carbaglu kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations)

([NAGS-i vaegus](#) 18. oktoobril 2000; [isovalerüül-atsideemia](#) 7. novembril 2008; [metüülmaloon-atsideemia](#) 7. novembril 2008; [propioon-atsideemia](#) 7. novembril 2008).

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Carbaglu kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Kui vajate Carbagluga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 05-2011.