

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Carbaglu

karglumihappo

Tämä teksti on tiivistelmä Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Carbaglu-valmistetta. Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut lääkevalmistetta ja päätynyt myyntiluvan myöntämistä puoltavaan lausuntoon sekä suosituksiin Carbaglun käytön ehdoista.

Mitä Carbaglu on?

Carbaglu on lääke, jonka vaikuttava aine on karglumihappo. Lääkettä saa dispergoituvina tabletteina. Dispergoituva tarkoittaa, että lääke voidaan dispergoida (sekoittaa) veteen.

Mihin Carbaglua käytetään?

Carbaglua käytetään hyperammonemian (veren suuren ammoniakkipitoisuuden) hoitoon potilailla, joilla on seuraavia metabolisia sairauksia:

- N-asetyyli glutamaattisyntaasin (NAGS:n) puutos. Potilaat, joilla on ammoniakkia hajottavan NGAS-maksaentsyymin elinikäinen puutos. Ellei entsyymiä ole, ammoniakki ei voi hajota eikä sitä kerry vereen.
- Jotkin orgaaniset happoverisyydet (isovaleriaanahappoverisyys, metyyli malonihappoverisyys ja propionihappoverisyys), joissa potilaalta puuttuu tiettyjä proteiiniaineenvaihduntaan osallistuvia entsyymejä.

Koska näitä sairauksia sairastavia potilaita on vähän, sairauksia pidetään harvinaisina; Carbaglu on nimetty harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) useina eri ajankohtina (ks. päivämäärät jäljempänä).

Lääkettä saa vain lääkärin määräyksestä.

Miten Carbaglua käytetään?

Carbaglu-hoidon aloittavan lääkärin on oltava perehtynyt aineenvaihduntasairauksien hoitoon.

NAGS:in puutoksessa hoidon voi aloittaa heti ensimmäisenä elinpäivänä, ja lääkettä käytetään koko elämän ajan. Orgaanisesta happoverisyydestä kärsivien potilaiden hoito aloitetaan potilaan jouduttua hyperammonemiakriisiin, ja hoitoa jatketaan kriisin päättymiseen saakka.

Carbaglun aloitusannos on 100 mg/painokilo vuorokaudessa, mutta jopa 250 mg/kg voidaan antaa tarvittaessa. Sen jälkeen annosta muutetaan veren normaalin ammoniakkitason ylläpitoa vastaavaksi. Tabletti on dispergoitava (sekoitettava) pieneen määrään vettä ennen potilaalle antamista. Tabletit voi jakaa helposti kahdeksi yhtä suureksi puolikkaaksi.

Miten Carbaglu vaikuttaa?

Vereen kertyvä ammoniakki on myrkyllistä elimistölle, erityisesti aivoille. Carbaglu on rakenteeltaan hyvin samanlainen kuin N-asetyyli glutamaatti, joka aktivoi ammoniakkia hajottavaa entsyymiä. Tästä syystä Carbaglu auttaa hajottamaan ammoniakkia ja vähentää veren ammoniakkipitoisuutta ja sen toksisia vaikutuksia.

Miten Carbaglua on tutkittu?

Carbaglua on tutkittu 20 potilaalla, joista 12:lla oli NAGS:n puutos ja joita hoidettiin keskimäärin kolmen vuoden ajan. Kahdeksan muun hoidetun potilaan hyperammonemia johtui muista syistä. Yhtiö esitteli myös julkaistusta kirjallisuudesta peräisin olevaa tietoa neljästä muusta potilaasta, joita oli hoidettu Carbaglun vaikuttavalla aineella.

Carbaglua on tutkittu myös 57 potilaalla (noin kaksi kolmasosaa oli vastasyntyneitä vauvoja), jotka sairastivat isovaleriaanahappoverisyyttä, metyyliammonihappoverisyyttä ja propionihappoverisyyttä ja jotka saivat Carbaglua hyperammonemiakriisissä.

Kaikissa tutkimuksissa tehon pääasiallinen mitta oli ammoniakkipitoisuuden muutos veressä.

Mitä hyötyä Carbaglusta on havaittu tutkimuksissa?

NAGS-puutospotilaiden ammoniakkipitoisuus palautui normaaliksi Carbaglu-hoidon jälkeen. Carbaglua saaneiden potilaiden tila pystyttiin pitämään vakaana ilman, että tarvitsi rajoittaa ruokavaliota tai käyttää muita lääkkeitä.

Isovaleriaanahappoverisyys-, metyyliammonihappoverisyys- ja propionihappoverisyyspotilailla Carbaglu lisäksi laski veren ammoniakkipitoisuutta keskimäärin 5,5 päivässä hoidon aloittamisesta.

Mitä riskejä Carbagluun liittyy?

Carbaglun yleisimpiä sivuvaikutuksia (1 - 10 potilaalla sadasta) on lisääntynyt hikoilu.

Pakkauselosteessa on luettelo kaikista Carbaglu-valmisteen ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Carbaglua ei saa antaa henkilöille, jotka saattavat olla yliherkkiä (allergisia) kargluumihapolle tai jollekin muulle valmisteen aineelle. Imettävät naiset eivät saa käyttää lääkettä.

Miksi Carbaglu on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Carbaglu laski tehokkaasti veren ammoniakkipitoisuuden normaalille tasolle ja että Carbaglun edut ovat sen riskejä suuremmat. Komitea suositteli myyntiluvan myöntämistä Carbaglulle.

Muita tietoja Carbaglusta

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan harvinaislääke Carbaglulle 24. tammikuuta 2003. Myyntilupa on voimassa toistaiseksi.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Carbaglusta antamasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations) ([NAGS:n puutos](#): 18. lokakuuta 2000; [isovaleriahappoverisyys](#): 7. marraskuuta 2008; [metyyylimalonihappoverisyys](#): 7. marraskuuta 2008; [propionic acidaemia](#): 7. marraskuuta 2008).

Carbaglua koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Lisätietoja Carbaglu-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon) tai lääkäriltä tai apteekista.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 05-2011.