



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/450563/2021
EMA/H/C/004019

Ucedane (*kargluumihappo*)

Yleistiedot Ucedanesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Ucedane on ja mihin sitä käytetään?

Ucedane on lääke, jota käytetään hyperammonemian (veren kohonnut ammoniakkipitoisuus) hoitoon potilailla, joilla on jokin seuraavista aineenvaihduntasairauksista:

- N-asetyyli glutamaattisyntaasin (NAGS) puute. Potilailta puuttuu maksaentsyymi NAGS, joka tavallisesti auttaa pilkkomaan ammoniakia. Sairaus on elinikäinen. Jos entsyymiä ei ole, ammoniakki ei pilkkoudu ja kertyy vereen.
- jotkin orgaaniset happoverisyydet (isovaleriaanahappoverisyys, metyyliammonihappoverisyys ja propionihappoverisyys), joissa potilailta puuttuu tiettyjä valkuaisaineiden vaihduntaan osallistuvia entsyymejä.

Ucedanen vaikuttava aine on kargluumihappo. Se on niin sanottu geneerinen lääkevalmiste. Tämä tarkoittaa sitä, että Ucedane sisältää samaa vaikuttavaa ainetta ja toimii samalla tavoin kuin Euroopan unionin alueella jo myyntiluvan saanut viitevalmiste Carbaglu. Lisätietoja geneerisistä lääkkeistä on tässä [kysymyksiä ja vastauksia](#) sisältävässä asiakirjassa.

Miten Ucedanea käytetään?

Ucedanea on saatavana dispergoituvina tabletteina (200 mg), joiden annetaan hajota pieneen määrään vettä. Lääkevalmistetta saa vain lääkärin määräyksestä, ja hoidon saa aloittaa ainoastaan lääkäri, jolla on kokemusta aineenvaihduntasairauksien hoidosta.

NAGS:n puutteesta kärsivien potilaiden hoito voidaan aloittaa jo ensimmäisenä elinpäivänä, ja lääkevalmistetta käytetään potilaan koko eliniän ajan. Orgaanisesta happoverisyydestä sairastavilla potilailla hoito aloitetaan, kun potilaalla on hyperammonemiakriisi, ja sitä jatketaan kriisin päättymiseen asti.

Ucedanen päivittäinen aloitusannos on 100 mg painokiloa (kg) kohti, mutta tarvittaessa annos voi olla enintään 250 mg/kg. Annosta on tämän jälkeen säädettävä veren normaalin ammoniakkitason ylläpitämiseksi.

Lisätietoja Ucedanen käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Miten Ucedane vaikuttaa?

Vereen kertynyt ammoniakki on myrkyllistä elimistölle ja erityisesti aivoille. Ucedanen vaikuttava aine, kargluumihappo, on rakenteeltaan hyvin samanlainen kuin N-asetyyli glutamaatti, joka aktivoi ammoniakkia pilkkovan entsyymin. Näin ollen Ucedane auttaa pilkkomaan ammoniakkia, mikä alentaa veren ammoniakkitasoa ja ammoniakkin myrkyllisiä vaikutuksia.

Miten Ucedanea on tutkittu?

Myyntiluvan jo saaneen viitevalmiste Carbaglun vaikuttavan aineen hyötyjä ja riskejä hyväksytyssä käyttöaiheessa on jo tutkittu, joten uusia tutkimuksia ei tarvitse tehdä Ucedanen osalta.

Yhtiö toimitti Ucedanen laatua koskevia tutkimuksia, kuten kaikkien lääkkeiden osalta tehdään. Yhtiö suoritti myös tutkimuksen, joka osoitti lääkevalmisteen olevan biologisesti samanarvoinen kuin viitevalmiste. Kaksi lääkettä ovat biologisesti samanarvoisia, kun ne saavat aikaan saman vaikuttavan aineen pitoisuuden elimistössä, ja siksi niillä odotetaan olevan sama vaikutus.

Mitkä ovat Ucedanen hyödyt ja riskit?

Koska Ucedane on geneerinen lääkevalmiste ja biologisesti samanarvoinen viitevalmisteeseen nähden, sen hyötyjen ja riskien katsotaan olevan samat kuin viitevalmisteen.

Miksi Ucedane on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Ucedanen on osoitettu olevan laadultaan vastaava ja biologisesti samanarvoinen viitevalmiste Carbaglun kanssa Euroopan unionin vaatimusten mukaisesti. Näin ollen virasto katsoi, että Carbaglun tavoin Ucedanen hyödyt ovat tunnistettuja riskejä suuremmat ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Ucedanen turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksiset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Ucedanen käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Muita tietoja Ucedanesta

Ucedane sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 23. kesäkuuta 2017.

Lisää tietoa Ucedanesta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ucedane

Tämä yhteenvedo on päivitetty viimeksi 08-2021.