



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ucedane (*acide carglumique*)

Aperçu d'Ucedane et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce qu'Ucedane et dans quel cas est-il utilisé?

Ucedane est un médicament utilisé pour le traitement de l'hyperammoniémie (taux élevés d'ammoniaque dans le sang) chez les patients atteints des maladies métaboliques suivantes:

- déficit en N-acétylglutamate synthase (NAGS). Les patients atteints de cette maladie qui dure toute la vie sont dépourvus d'une enzyme du foie appelée NAGS, qui contribue normalement à la dégradation de l'ammoniaque. En l'absence de cette enzyme, l'ammoniaque ne peut pas être dégradée et elle s'accumule dans le sang;
- certaines acidémies organiques (acidémie isovalérique, acidémie méthylmalonique et acidémie propionique), lorsque les patients sont dépourvus de certaines enzymes qui interviennent dans le métabolisme des protéines.

Ucedane contient la substance active acide carglumique et est un «médicament générique». Cela signifie qu'Ucedane contient la même substance active et fonctionne de la même manière qu'un «médicament de référence» déjà autorisé dans l'Union européenne (UE), à savoir Carbaglu. Pour de plus amples informations sur les médicaments génériques, voir le document sous forme de questions/réponses disponible [ici](#).

Comment Ucedane est-il utilisé?

Ucedane est disponible sous la forme de comprimés dispersibles (200 mg) qui doivent être dispersés (mélangés) dans une petite quantité d'eau. Le médicament n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré par un médecin expérimenté dans le traitement de patients atteints de maladies métaboliques.

Chez les patients présentant un déficit en NAGS, le traitement peut débuter dès le premier jour de vie et le médicament est utilisé pendant toute la vie du patient. Chez les patients atteints d'acidémies organiques, le traitement débute lorsque le patient souffre d'une crise d'hyperammoniémie et se poursuit jusqu'à la fin de la crise.

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



La dose quotidienne initiale d'Ucedane doit être de 100 mg par kilogramme de poids corporel, mais peut être augmentée, si nécessaire, jusqu'à 250 mg/kg. La dose doit ensuite être ajustée de façon à maintenir l'ammoniémie dans des valeurs normales.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Ucedane, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Ucedane agit-il?

L'accumulation d'ammoniaque dans le sang est toxique pour l'organisme, en particulier pour le cerveau. La substance active d'Ucedane, l'acide carglumique, présente une structure très similaire au N-acétylglutamate, qui active une enzyme dégradant l'ammoniaque. Ucedane contribue donc à la dégradation de l'ammoniaque, réduisant ainsi l'ammoniémie et ses effets toxiques.

Quelles études ont été menées sur Ucedane?

Des études sur les bénéfices et les risques de la substance active dans l'utilisation approuvée ont déjà été réalisées avec le médicament de référence, à savoir Carbaglu, et il n'est pas nécessaire de les répéter pour Ucedane.

Comme pour tous les médicaments, la société a fourni des études sur la qualité d'Ucedane. La société a également réalisé une étude qui a montré qu'Ucedane est «bioéquivalent» au médicament de référence. Deux médicaments sont bioéquivalents lorsqu'ils produisent les mêmes niveaux de substance active dans le corps, avec le même effet attendu.

Quels sont les bénéfices démontrés par Ucedane et quels sont les risques associés à son utilisation?

Étant donné qu'Ucedane est un médicament générique et qu'il est bioéquivalent au médicament de référence, ses bénéfices et risques sont considérés comme étant les mêmes que ceux du médicament de référence.

Pourquoi Ucedane est-il autorisé dans l'UE?

L'Agence européenne des médicaments a conclu que, conformément aux exigences de l'UE, il a été démontré qu'Ucedane est de qualité comparable à celle de Carbaglu et bioéquivalent à ce dernier. Par conséquent, l'Agence a estimé que, comme pour Carbaglu, le bénéfice d'Ucedane est supérieur au risque identifié et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Ucedane?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Ucedane ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Autres informations relatives à Ucedane:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Ucedane, le 23 juin 2017.

Des informations sur Ucedane sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ucedane

Dernière mise à jour du présent aperçu: 08-2021.