

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Carbaglu

kargluminsav

Ez a dokumentum a Carbaglu-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Carbaglu alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a Carbaglu?

A Carbaglu egy kargluminsav nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Diszpergálódó tabletta formájában kerül forgalomba. A „diszpergálódó” azt jelenti, hogy a tablettát vízben lehet diszpergálni (feloldani).

Milyen betegségek esetén alkalmazható a Carbaglu?

A Carbaglu-t a hiperammonémia (magas ammóniaszint a vérben) kezelésére alkalmazzák, az alábbi anyagcsere-betegségekben szenvedő betegeknél:

- N-acetilglutamát-szintáz (NAGS) hiány. Az ebben az egész életen át tartó betegségben szenvedő betegeknél hiányzik az a NAGS elnevezésű májenzim, amely normál esetben segíti az ammónia lebontását. Ha az enzim nincs jelen, az ammónia nem bontható le, és a vérben felhalmozódik.
- Bizonyos organikus acidémiák (izovaleriánsav acidémia, metilmalonsav acidémia és propionsav acidémia), amelyek esetében a a betegeknél a fehérje-anyagcserében résztvevő bizonyos enzimek hiányoznak.

Mivel az említett betegségekben szenvedő betegek száma alacsony, a betegségek „ritkának” minősülnek, ezért a Carbaglu különböző időpontokban (lásd lentebb) megkapta a „ritka betegségek gyógyszere” minősítést.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni a Carbaglu-t?

A Carbaglu-kezelést csak az anyagcsere-betegségek kezelésében jártas orvos kezdheti meg.

A NAGS hiányban szenvedő betegek esetében a kezelést már egynapos korban meg lehet kezdeni, és a gyógyszert a beteg egész életén át alkalmazni lehet. Organikus acidémiában szenvedő betegeknél a kezelést akkor kell elkezdeni, amikor a betegnél hiperammonémiás krízis lép fel, és addig kell folytatni, amíg az el nem múlik.

A Carbaglu kezdő napi adagja 100 mg testtömeg-kilogrammonként, azonban ez szükség esetén 250 mg/kg-ig emelhető. Az adagot ezt követően úgy kell beállítani, hogy fennmaradjon a vér normális ammóniaszintje. A tablettát kis mennyiségű vízben kell diszpergálni (feloldani), mielőtt a betegnek beadnák. A tablettát könnyedén két egyenlő részre lehet törni.

Hogyan fejti ki hatását a Carbaglu?

Az ammónia felhalmozódása a vérben mérgező a szervezetre, különösen pedig az agyra nézve. A Carbaglu szerkezete nagyon hasonlít az N-acetilglutamáéhoz, amely az ammóniát lebontó enzimet aktiválja. A Carbaglu segíti az ammónia lebontását, így csökkenti az ammónia szintjét a vérben és a mérgező hatást.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Carbaglu-t?

A Carbaglu-t 20 beteg bevonásával vizsgálták, akik közül 12 NAGS hiányban szenvedett és átlagosan három évig kezelték őket. A másik nyolc beteget más okból kialakult hiperammonémia miatt kezelték. A vállalat további négy betegnek a Carbaglu hatóanyagával végzett kezelésével kapcsolatos szakirodalomból származó adatokat is benyújtott.

A Carbaglu-t 57 (körülbelül kétharmaduk újszülött), hiperammonémiás krízisük alatt Carbaglu-val kezelt izovaleriánsav acidémiában, metilmalonsav acidémiában vagy propionsav acidémiában szenvedő betegen is tanulmányozták.

Valamennyi vizsgálatban a hatásosság fő mértéke a vérben mért ammóniaszint változása volt.

Milyen előnyei voltak a Carbaglu alkalmazásának a vizsgálatok során?

Az ammónia szint az NAGS hiányban szenvedő betegeknél normális szintre állt vissza a Carbaglu-kezelést követően. A Carbaglu-val kezelt betegeket stabil állapotban lehetett tartani étrendi korlátozások vagy más gyógyszerek alkalmazásának szükségessége nélkül.

Az izovaleriánsav acidémiában, metilmalonsav acidémiában vagy propionsav acidémiában szenvedő betegek esetében a Carbaglu szintén csökkentette a vér ammóniaszintjét, átlagosan 5,5 nappal a kezelés megkezdése után.

Milyen kockázatokkal jár a Carbaglu alkalmazása?

A Carbaglu leggyakoribb mellékhatása (100 beteg közül 1-10-nél jelentkezik) a fokozott verejtékezés. A Carbaglu alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolását lásd a betegtájékoztatóban!

A Carbaglu nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiások) lehetnek a kargluminsavval vagy a készítmény bármely más összetevőjével szemben. A Carbaglu alkalmazása szoptató nők esetében tilos!

Miért engedélyezték a Carbaglu forgalomba hozatalát?

A CHMP megállapította, hogy a Carbaglu hatékonyan csökkenti a vér ammóniaszintjét a normális szintre, valamint hogy alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat. A bizottság javasolta a Carbaglu-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

A Carbaglu-val kapcsolatos egyéb információ:

2003. január 24-én az Európai Bizottság az Orphan Europe részére a Carbaglu-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt. A forgalomba hozatali engedély korlátlan ideig érvényes.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Carbaglu-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations) ([NAGS hiány](#): 2000. október 18.; [izovaleriánsav acidémia](#): 2008. november 7.; [metilmalonsav acidémia](#): 2008. november 7.; [propionsav acidémia](#): 2008. november 7.).

A Carbaglu-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Amennyiben a Carbaglu-val történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon orvosához vagy gyógyszerészéhez!

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 05-2011.