



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ucedane (*kargluminsav*)

Az Ucedane-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer az Ucedane és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Ucedane-t a hiperammonémia (magas ammóniaszint a vérben) kezelésére alkalmazzák az alábbi anyagcsere-betegségekben szenvedő betegeknél:

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

A hatóanyagként kargluminsavat tartalmazó Ucedane „generikus gyógyszer”. Ez azt jelenti, hogy ugyanazt a hatóanyagot tartalmazza és ugyanolyan módon hat, mint egy, az Európai Unióban (EU) már engedélyezett, Carbaglu nevű „referencia-gyógyszer”. A generikus gyógyszerekkel kapcsolatban további információ [ebben](#) a kérdés-válasz dokumentumban található.

Hogyan kell alkalmazni az Ucedane-t?

Az Ucedane diszpergálódó tabletták (200 mg) formájában kapható, amelyeket kis mennyiségű vízben kell feloldani (elkeverni). A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést az anyagcsere-betegségekben szenvedő betegek kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie.

A NAGS-hiányban szenvedő betegeknél a kezelést akár már egynapos korban meg lehet kezdeni; a gyógyszert a beteg egész élete során alkalmazzák. 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.



Az Ucedane kezdő napi adagja testtömeg-kilogrammonként 100 mg, amely szükség esetén 250 mg/ttkg-ig emelhető. Az adagot ezt követően úgy kell kiigazítani, hogy fenntartható legyen a vér normális ammóniaszintje.

Az Ucedane alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását az Ucedane?

Az ammónia felhalmozódása a vérben mérgező a szervezetre, különösen az agyra nézve. Az Ucedane hatóanyaga, a kargluminsav szerkezetében nagyon hasonló az N-acetil-glutamáthoz, amely aktivál egy, az ammónia lebontását végző enzimet. Az Ucedane így segíti az ammónia lebontását, ami által csökken az ammónia vérszintje és mérgező hatása.

Milyen módszerekkel vizsgálták az Ucedane-t?

A hatóanyag előnyeire és kockázataira irányuló vizsgálatokat a jóváhagyott alkalmazásban már elvégezték a referencia-gyógyszerrel, a Carbaglu-val, így ezeket az Ucedane esetében nem szükséges megismételni.

Mint minden gyógyszer esetében, a vállalat az Ucedane minőségére vonatkozó vizsgálatokat nyújtott be. A vállalat elvégzett egy további vizsgálatot is, amely igazolta a referencia-gyógyszerrel való biológiai egyenértékűséget. Két gyógyszer akkor biológiai egyenértékű, ha ugyanolyan hatóanyagszintet eredményeznek a szervezetben, így hatásuk várhatóan egyezik.

Milyen előnyökkel és kockázatokkal jár az Ucedane alkalmazása?

Mivel az Ucedane generikus gyógyszer és biológiai egyenértékű a referencia-gyógyszerrel, előnye és kockázatai azonosnak tekinthetők a referencia-gyógyszer előnyeivel és kockázataival.

Miért engedélyezték az Ucedane forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az EU követelményeinek megfelelően az Ucedane minőségi szempontból összehasonlíthatónak és biológiai egyenértékűnek bizonyult a Carbaglu-val. Ezért az Ügynökségnek az volt a véleménye, hogy a Carbaglu-hoz hasonlóan az Ucedane alkalmazásának előnye meghaladja annak azonosított kockázatait, és alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Ucedane biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Ucedane biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Ucedane-nal kapcsolatos egyéb információ

2017. június 23-án az Ucedane az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

Az Ucedane-nal kapcsolatban további információ az Ügynökség honlapján található:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ucedane

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 08-2021.