



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ucedane (*acido carglumico*)

Sintesi di Ucedane e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Ucedane e per cosa si usa?

Ucedane è un medicinale usato per il trattamento dell'iperammoniemia (elevati livelli ematici di ammoniaca) nei pazienti affetti dalle seguenti malattie metaboliche:

- deficit di N-acetilglutammato sintasi (NAGS). I pazienti affetti da questa malattia cronica sono privi di un enzima epatico denominato NAGS, che normalmente contribuisce a degradare l'ammoniaca. Se l'enzima non è presente, l'ammoniaca non può essere degradata e si accumula nel sangue;
- alcune forme di acidemia organica (acidemia isovalerica, acidemia metilmalonica e acidemia propionica), in cui i pazienti sono privi di determinati enzimi coinvolti nel metabolismo delle proteine.

Ucedane contiene il principio attivo acido carglumico ed è un "medicinale generico". Questo significa che Ucedane contiene lo stesso principio attivo e agisce nello stesso modo di un "medicinale di riferimento", già autorizzato nell'UE, denominato Carbaglu. Per maggiori informazioni sui medicinali generici, consultare le domande e le risposte cliccando [qui](#).

Come si usa Ucedane?

Ucedane è disponibile sotto forma di compresse dispersibili (200 mg) che devono essere disperse (miscelate) in poca acqua. Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere avviata da un medico esperto nel trattamento di pazienti con malattie metaboliche.

Nei pazienti affetti da deficit di NAGS, il trattamento può essere iniziato già il primo giorno di vita e il medicinale viene utilizzato per tutta la vita. Nei pazienti con acidemia organica il trattamento inizia quando si verifica una crisi di iperammoniemia e prosegue fino al termine della crisi.

La dose giornaliera iniziale di Ucedane dovrebbe essere pari a 100 mg per chilogrammo di peso corporeo; se necessario il dosaggio può essere aumentato fino a 250 mg/kg. In seguito, la dose dovrà essere regolata per mantenere nella norma i livelli di ammoniaca nel sangue.

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



Per maggiori informazioni sull'uso di Ucedane, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Ucedane?

Quando l'ammoniaca si accumula nel sangue, diventa tossica per l'organismo, e in particolare per il cervello. Il principio attivo di Ucedane, acido carginico, ha una struttura molto simile a N-acetilglutammato, il quale attiva un enzima che degrada l'ammoniaca. Ucedane, pertanto, contribuisce a degradare l'ammoniaca, riducendone i livelli e gli effetti tossici.

Quali studi sono stati effettuati su Ucedane?

Studi riguardo ai benefici e ai rischi del principio attivo per l'uso approvato sono già stati effettuati per il medicinale di riferimento, Carbaglu, e non è necessario ripeterli per Ucedane.

Come per ogni medicinale, la ditta ha fornito studi sulla qualità di Ucedane. Inoltre, la ditta ha effettuato uno studio che ha mostrato la "bioequivalenza" rispetto al medicinale di riferimento. Due medicinali sono bioequivalenti quando producono gli stessi livelli di principio attivo nell'organismo e ci si aspetta pertanto che abbiano lo stesso effetto.

Quali sono i benefici e i rischi di Ucedane?

Poiché Ucedane è un medicinale generico ed è bioequivalente al medicinale di riferimento, i suoi benefici e rischi sono considerati uguali a quelli del medicinale di riferimento.

Perché Ucedane è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha concluso che, conformemente ai requisiti dell'UE, Ucedane ha mostrato di possedere una qualità paragonabile e di essere bioequivalente a Carbaglu. Pertanto, l'Agenzia ha ritenuto che, come nel caso di Carbaglu, il beneficio di Ucedane sia superiore al rischio individuato e che il suo uso possa essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Ucedane?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Ucedane sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Altre informazioni su Ucedane

Ucedane ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 23 giugno 2017.

Ulteriori informazioni su Ucedane sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

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

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 08-2021.