



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Carbaglu

karglumo rūgštis

Šis dokumentas yra vaisto Carbaglu Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) įvertinęs vaistą priėmė nuomonę, kuria rekomenduoja suteikti Carbaglu rinkodaros teisę ir pateikia jo vartojimo rekomendacijas.

Kas yra Carbaglu?

Carbaglu – tai vaistinis preparatas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos karglumo rūgštis. Gaminamos disperguojamosios šio vaisto tabletės. Disperguojamosios – tai tokios tabletės, kurias galima ištirpinti vandenyje (su juo sumaišyti).

Kam vartojamas Carbaglu?

Carbaglu skirtas hiperamonemijai (amoniako pertekliui kraujyje) gydyti pacientams, sergantiems šiomis medžiagų apykaitos ligomis:

- N-acetilglutamato sintetazės (NAGS) stoka. Šia visą gyvenimą trunkančia liga sergantiems pacientams trūksta kepenų fermento, vadinamojo NAGS, kuris paprastai padeda skaidyti amoniaką. Organizme, kuriame šio fermento trūksta, neskaidomas amoniakas kaupiasi kraujyje.
- kai kurių formų organinė acidemija (izovalerijono rūgštis acidemija, metilmalono rūgštis acidemija ir propiono rūgštis acidemija), kai pacientams trūksta kai kurių baltymų apykaitoje dalyvaujančių fermentų.

Kadangi šiomis ligomis sergančių pacientų nedaug, šios ligos laikomos retomis, Carbaglu buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai skirtingu metu (žr. toliau nurodytas datas).

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.



Kaip vartoti Carbaglu?

Gydymą Carbaglu turi skirti gydytojas, turintis medžiagų apykaitos ligomis sergančių pacientų gydymo patirties.

Pacientų, kuriems trūksta NAGS, gydymą galima pradėti nuo pirmos gyvenimo dienos. Šį vaistą pacientas turi vartoti visą gyvenimą. Kurios nors formos organinė acidemija sergančius pacientus galima pradėti gydyti, kai jiems pasireiškia hiperamonemijos krizė, ir gydymas tęsiamas tol, kol ji baigiasi.

Pradinė Carbaglu paros dozė turi būti 100 mg kilogramui kūno svorio, bet prireikus galima skirti iki 250 mg/kg. Vėliau individualiai parenkama tokia dozė, kuri palaiko normalią amoniako koncentraciją kraujyje. Prieš duodant pacientui, tabletės disperguojamos (sumaišomos) su trupučiu vandens. Jas galima perlaužti į dvi lygias dalis.

Kaip veikia Carbaglu?

Kaupdamasis kraujyje, amoniakas nuodija organizmą, ypač smegenis. Carbaglu struktūra labai panaši į N-acetilglutamato, kuris aktyvina amoniaką skaidantį fermentą. Taigi Carbaglu padeda skaidyti amoniaką, mažina jo kiekį kraujyje ir kartu jo toksinį poveikį.

Kaip buvo tiriamas Carbaglu?

Carbaglu poveikis tirtas su 20 pacientų, kurių dvylikai trūko NAGS ir kurie buvo gydomi vidutiniškai trejus metus. Kiti aštuoni pacientai buvo gydomi nuo kitų veiksnių sukeltos hiperamonemijos. Bendrovė taip pat pateikė paskelbtos mokslinės literatūros informacijos apie kitus keturis pacientus, kurie buvo gydomi Carbaglu veikliąja medžiaga.

Carbaglu poveikis taip pat tirtas su 57 pacientais (maždaug du trečdaliai jų buvo naujagimiai), sergančiais izovalerijono rūgšties acidemija, metilmalono rūgšties acidemija arba propiono rūgšties acidemija, kurie, pasireiškus hiperamonemijos krizėms, buvo gydomi Carbaglu.

Visuose tyrimuose pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo amoniako koncentracijos pokytis kraujyje.

Kokia Carbaglu nauda nustatyta tyrimuose?

Pacientams, kuriems trūko NAGS, taikant gydymą Carbaglu, amoniako koncentracija kraujyje normalizavosi. Carbaglu vartojančių pacientų būklė išliko stabili ir jiems nereikėjo taikyti mitybos apribojimų ar vartoti kitų vaistinių preparatų.

Izovalerijono rūgšties acidemija, metilmalono rūgšties acidemija arba propiono rūgšties acidemija sergančių pacientų, kurie vartojo Carbaglu, amoniako koncentracija kraujyje taip pat sumažėjo per vidutiniškai 5,5 gydymo dienas.

Kokia rizika siejama su Carbaglu vartojimu?

Dažniausias Carbaglu šalutinis poveikis (nustatytas 1–10 pacientų iš 100) yra gausėnis prakaitavimas. Išsamų visų šalutinių reiškinių, apie kuriuos pranešta gydant Carbaglu, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Carbaglu negalima skirti žmonėms, kurie gali būti jautrūs (alergiški) karglumino rūgščiai ar kitoms pagalbinėms medžiagoms. Carbaglu negalima vartoti žindymams.

Kodėl Carbaglu buvo patvirtintas?

Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) nusprendė, kad Carbaglu veiksmingai normalizuoja amoniako koncentraciją kraujyje ir kad jo nauda yra didesnė už keliamą riziką. Komitetas rekomendavo suteikti vaistinio preparato Carbaglu rinkodaros teisę.

Kita informacija apie Carbaglu

Europos Komisija 2003 m. sausio 24 d. bendrovei „Orphan Europe“ suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojančią Carbaglu rinkodaros teisę. Rinkodaros teisė galioja neribotą laikotarpį.

Retųjų vaistų komiteto nuomonės apie Carbaglu santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations ([NAGS stoka](#): 2000 m. spalio 18 d.; [isovalerijono rūgšties acidemija](#): 2008 m. lapkričio 7 d.; [metilmalono rūgšties acidemija](#): 2008 m. lapkričio 7 d.; [propiono rūgšties acidemija](#): 2008 m. lapkričio 7 d.).

Išsamų Carbaglu EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports. Daugiau informacijos apie gydymą Carbaglu rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2011–05.