



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Carbaglu

karglumīnskābe

Šis dokuments ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Carbaglu*. Tajā ir paskaidrots, kā Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) novērtēja šīs zāles, pirms sniegt pozitīvu reģistrācijas apliecības piešķiršanas atzinumu un ieteikumus par *Carbaglu* lietošanu.

Kas ir *Carbaglu*?

Carbaglu ir zāles, kas satur aktīvo vielu karglumīnskābi. Tās ir pieejamas šķīstošu tablešu veidā. "Šķīstošs" nozīmē, ka tabletes var izšķīdināt (iejaukt) ūdenī.

Kāpēc lieto *Carbaglu*?

Carbaglu lieto hiperamonēmijas (paaugstināta amonjaka līmeņa asinīs) ārstēšanai pacientiem ar šādām vielmaiņas slimībām:

- N-acetilglutamāta sintāzes nepietiekamību. Pacientiem ar šo mūža slimību trūkst aknu fermenta, ko sauc par N-acetilglutamāta sintāzi, kas parasti palīdz noārdīt amonjaku. Ja šā fermenta nav, amonjaku nevar noārdīt un tas uzkrājas asinīs;
- dažām organiskajām acidozēm (izobaldriānacidoze, metilmalonacidoze un propionacidoze), kad pacientiem trūkst īpašu fermentu, kas ir iesaistīti proteīnu vielmaiņā.

Sakarā ar to, ka šo slimību pacientu skaits ir mazs un slimības uzskata par retām, dažādos datumos (skatīt zemāk) *Carbaglu* tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kā lieto *Carbaglu*?

Ārstēšanu ar *Carbaglu* drīkst uzsākt ārsts ar pieredzi vielmaiņas slimību ārstēšanā. Pacientiem ar N-acetilglutamāta sintāzes nepietiekamību ārstēšanu var uzsākt jau pirmajā dienā pēc piedzimšanas; zāles pacients lieto visa sava mūža garumā. Pacientiem ar organiskajiem acidozes



veidiem ārstēšanu uzsāk brīdī, kad pacientam iestājas hiperamonēmijas saasinājums, un turpina, līdz saasinājums pāriet. Dienas sākumdevai jābūt 100 mg *Carbaglu* uz vienu kilogramu ķermeņa svara, nepieciešamības gadījumā nepārsniedzot 250 mg/kg. Tad deva jāpielāgo, lai uzturētu amonjaka līmeni asinīs normas robežās. Pirms iedot tabletes pacientam, tās jāizšķīdina (jāiejauc) nelielā ūdens daudzumā. Tās var viegli sadalīt divās vienādās daļās.

Kā darbojas *Carbaglu*?

Kad amonjaks uzkrājas asinīs, tas kļūst toksisks organismam, it īpaši smadzenēm. *Carbaglu* pēc uzbūves ir ļoti līdzīgs N-acetilglutamātam, kas aktivē amonjaku noārdošo fermentu. Tātad *Carbaglu* palīdz noārdīt amonjaku un pazemina tā līmeni asinīs, šādi samazinot toksicitāti.

Kā noritēja *Carbaglu* izpēte?

Carbaglu pētījumā piedalījās 20 pacienti, no kuriem 12 bija N-acetilglutamāta sintāzes nepietiekamība un kurus ārstēja vidēji trīs gadus. Pārējiem astoņiem pacientiem ārstēja citas izcelsmes hiperamonēmiju. Turklāt uzņēmums iesniedza datus no publikācijām vēl par četriem pacientiem, ko ārstēja ar *Carbaglu* sastāvā esošo aktīvo vielu.

Carbaglu pētījumā iesaistīja 57 pacientus (apmēram divas trešdaļas no kuriem bija jaundzimušie) ar izobaldriānacidozi, metilmalonacidozi vai propionacidozi, kurus ārstēja ar *Carbaglu* hiperamonēmijas saasinājuma laikā.

Visos pētījumos galvenais iedarbīguma rādītājs bija amonjaka līmeņa izmaiņas asinīs.

Kāds ir *Carbaglu* iedarbīgums šajos pētījumos?

Pacientiem ar N-acetilglutamāta sintāzes nepietiekamību pēc ārstēšanas ar *Carbaglu* amonjaka līmenis pazeminājās līdz normai. *Carbaglu* terapija nodrošināja stabilu veselības stāvokli pacientiem bez lieliem diētas ierobežojumiem un nelietojot citas zāles.

Pacientiem ar izobaldriānacidozi, metilmalonacidozi vai propionacidozi pēc 5,5 dienu ilgas ārstēšanas ar *Carbaglu* amonjaka līmenis asinīs arī pazeminājās līdz normai.

Kāds pastāv risks, lietojot *Carbaglu*?

Visbiežāk novērotā *Carbaglu* blakusparādība (vienam līdz desmit pacientiem no simts) ir pastiprināta svīšana. Pilns visu *Carbaglu* izraisīto blakusparādību apraksts ir atrodams zāļu lietošanas pamācībā.

Carbaglu nedrīkst lietot cilvēki ar paaugstinātu jutību (alerģiju) pret karglumīnskābi vai kādu citu šo zāļu sastāvdaļu. *Carbaglu* nedrīkst lietot sievietes, kuras baro bērnu ar krūti.

Kāpēc *Carbaglu* tika apstiprinātas?

CHMP secināja, ka *Carbaglu* bija efektīvas asins amonjaka līmeņa pazemināšanai līdz normālam līmenim un pacienta ieguvumi, lietojot *Carbaglu*, ir lielāki par šo zāļu radīto risku. Komiteja ieteica izsniegt *Carbaglu* reģistrācijas apliecību.

Cita informācija par *Carbaglu*.

Eiropas Komisija 2003. gada 24. janvārī izsniedza *Carbaglu* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā, uzņēmumam *Orphan Europe*. Reģistrācijas apliecības derīguma termiņš nav ierobežots.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Carbaglu* ir pieejams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations) ([N-acetilglutamāta sintāzes nepietiekamība](#): 2000. gada 18. oktobris; [izobaldriānācidoze](#): 2008. gada 7. novembris; [metilmalonācidoze](#): 2008. gada 7. novembris; [propionācidoze](#): 2008. gada 7. novembris).

Pilns *Carbaglu* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Carbaglu* pieejama zāļu lietošanas pamācībā (kas arī ir daļa no EPAR) vai iegūstama, sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 05./2011.