

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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Carbaglu

aċidu karglumiku

Dan id-dokument huwa sommarju tar-Rapport Pubbliku Ewropew ta' Valutazzjoni (EPAR) għal Carbaglu. Dan jispjega kif il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) iwwaluta l-mediċina sabiex wasal għall-opinjoni favorevoli tiegħu li tingħata awtorizzazzjoni għat-tqeghid fis-suq u r-rakkomandazzjonijiet tiegħu fuq il-kondizzjonijiet ta' użu għal Carbaglu.

X'inhu Carbaglu?

Carbaglu huwa mediċina li fiha s-sustanza attiva aċidu karglumiku (*carglumic acid*). Huwa jinsab disponibbli bħala pilloli li jinħallu meta jiġu f'kuntatt ma' likwidu. 'Jinħallu', tfisser li l-pilloli jinħallu (meta jithalltu) fl-ilma.

Għal xiex jintuża Carbaglu?

Carbaglu jintuża għall-kura ta' iperammonaemia (livelli għolja ta' ammonja fid-demm) f'pazjenti li jbatu mill-metaboliku li ġej:

- Disturbi fis-sintazi N-aċetilglutamat (NAGS). Il-pazjenti li jbatu minn din il-marda kronika jkollhom enzima fil-fwied msejha NAGS nieqsa, għaldaqstant ma jkunx jistgħu jkissru l-ammonja. Jekk l-enzima ma tkunx preżenti, l-ammonja ma tkunx tista' tiġi mkissra u tkompli takkumula fid-demm;
- xi aċidemji organiċi (aċidemja isovalerika, aċidemja metilmalonika u aċidemja propjonika) li l-pazjenti ma jkollhomx jinvolvu l-metaboliżmu tal-proteina.

Minhabba li n-numru ta' pazjenti li għandhom dan il-mard huwa wieħed baxx, huma ġew ikkunsidrati bħala 'rari', u Carbaglu ġie kklassifikata bħala 'mediċina orfni' (mediċina li tintuża f'mard rari) f'diversi dati (ara aktar 'l isfel).

Il-mediċina tinkiseb biss b'ricetta ta' tabib.

Kif jintuża Carbaglu?

It-trattament b'Carbaglu għandu jinbeda minn tabib li jkollu esperejenza fit-trattament ta' pazjenti b'mardiet metabolici.

Fil-pazjenti li jbatu minn disturbi b'NAGS, il-kura tista' tinbeda mill-ewwel jum tal-ħajja u l-medicina tibqa' tintuża tul il-ħajja kollha tal-pazjent. Fil-pazjenti li jbatu minn aċidemji organiċi, il-kura tibda meta l-pazjent ikollu kriċi ta' iperammonemja u tkompli sakemm tintemm il-križi.

L-ewwel doża ta' kuljum ta' Carbaglu għandha tkun ta' 100mg għal kull kilogramm li jiżen il-ġisem, iżda jekk ikun meħtieġ tista' tingħata doża sa 250mg għal kull kilogramm. Id-doża għandha mbagħad tiġi aġġustata sabiex iżżomm livelli normali ta' ammonja fid-demm. Il-pilloli għandhom jithalltu ma' ammont żgħir ta' ilma qabel ma jingħataw lill-pazjent. Jistgħu faċilment jinqasmu f'żewġ nofsijiet tal-istess daqs.

Kif jaħdem Carbaglu?

Meta l-livell ta' ammonja jiżdied fid-demm, din issir tossika għall-ġisem, speċjalment għall-moħħ. Carbaglu huwa simili ħafna fl-istruttura għal N-eċetilglutamat, li jattiva l-enzima li tkisser l-ammonja. Carbaglu għalhekk jgħin fid-dekompożizzjoni tal-ammonja, fejn inaqas il-livelli ta' ammonja fid-demm u l-effetti tossici tagħha.

Kif ġie studjat Carbaglu?

Carbaglu ġie studjat f'20 pazjent, fejn 12 minnhom kellhom id-disturb NAGS u kienu trattati għal medja ta' madwar tliet snin. It-tmien pazjenti l-oħra ġew trattati għal iperammonemija minn kawża oħra. Il-kumpanija ppreżentat ukoll informazzjoni minn dokumentazzjoni pubblikata dwar erba' pazjenti oħra trattati bis-sustanza attiva Carbaglu.

Carbaglu ġie studjat ukoll f'57 pazjent (madwar żewġ terzi kienu trabi tat-twelid) li kienu jbatu minn aċidemja isovalerika, aċidemja metilmalonika u aċidemja propjonika li kienu kkurati b'Carbaglu meta kollhom kriżijiet ta' iperammonemija.

Fl-istudji kollha, il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien il-bidla fil-livelli ta' ammonja fid-demm.

Liema benefiċċju wera Carbaglu waqt l-istudji li ġew mwettqa?

Fil-biċċa l-kbira tal-pazjenti b'disturbi bin-NAGS, il-livelli ta' ammonja reġgħu għan-normal wara trattament b'Carbaglu. Il-pazjenti li jkunu qed jieħdu Carbaglu setgħu jinżammu stabbli mingħajr il-bżonn ta' restrizzjonijiet ta' dieta jew tal-użu ta' medicini oħrajn.

Fil-pazjenti li kienu jbatu minn aċidemja isovalerika, aċidemja metilmalonika u aċidemja propjonika, Carbaglu kellu effett ukoll fit-tnaqqis ta' livelli ta' ammonja fid-demm, wara medja ta' 5.5 jien ta' kura.

X'inhu r-riskju assoċjat ma' Carbaglu?

L-iktar effett sekondarju komuni b'Carbaglu (li deher f'bejn pazjent wieħed u 10 minn kull 100) huwa l-ħruġ tal-għaraq. Għal-lista sħiħa ta' effetti sekondarji b'Carbaglu ara l-Fuljett ta' Tagħrif.

Carbaglu m'għandux jintuża fuq persuni li huma ipersensittivi (allergiċi) għall-aċidu karglumiku jew għal xi sustanza oħra tiegħu. Carbaglu ma għandux jintuża f'nisa li huma tqal.

Għaliex għe approvat Carbaglu?

Is-CHMP kkonkluda li Carbaglu kien effettiv fit-tnaqqis tal-livelli tal-ammonja fid-demm u ddeċieda li l-benefiċċji ta' Carbaglu jisbqu r-riskji. Il-Kumitat irrakkomanda li Carbaglu għandu jingħata l-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq.

Tagħrif ieħor dwar Carbaglu:

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha għal Carbaglu lil Orphan Europe fl-24 ta' Jannar 2003. L-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq hija valida għal perjodu mhux limitat.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali Orfni għal Carbaglu jista' jinstab fuq is-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations) ([NAGS deficiency](#): 18 ta' Ottubru 2000; [isovaleric acidaemia](#): 7 ta' Novembru 2008; [methylmalonic acidaemia](#): 7 ta' Novembru 2008; [propionic acidaemia](#): 7 ta' Novembru 2008).

L-EPAR sħiħ għal Carbaglu jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Carbaglu, aqra l-fuljett ta' tagħrif (huwa parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

Dan is-sommarju għe aġġornat l-aħħar fil-05-2011.