



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ucedane (*carglumaatzuur*)

Een overzicht van Ucedane en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Ucedane en wanneer wordt het voorgeschreven?

Ucedane is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van hyperammoniëmie (een hoog ammoniakgehalte in het bloed) bij patiënten met de volgende stofwisselingsziekten:

- N-acetylglutamaatsynthase-deficiëntie (NAGS-deficiëntie). Patiënten die hun leven lang aan deze ziekte lijden missen het leverenzym NAGS, dat normaal gezien helpt bij de afbraak van ammoniak. Als dit enzym niet aanwezig is, kan ammoniak niet worden afgebroken en hoopt het zich op in het bloed;
- sommige organische acidemieën (isovaleriaanacidemie, methylmalonacidemie en propionacidemie), waarbij patiënten een tekort hebben aan bepaalde enzymen die betrokken zijn bij het eiwitmetabolisme.

Ucedane bevat de werkzame stof carglumaatzuur en is een 'generiek geneesmiddel'. Dit betekent dat Ucedane dezelfde werkzame stof bevat en op dezelfde manier werkt als een 'referentiegeneesmiddel' dat al in de Europese Unie (EU) is toegelaten onder de naam Carbaglu. Meer informatie over generieke geneesmiddelen vindt u in het [vraag-en-antwoorddocument](#).

Hoe wordt Ucedane gebruikt?

Ucedane is verkrijgbaar als dispergeerbare tabletten (200 mg) die moeten worden opgelost in een kleine hoeveelheid water. Het geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met stofwisselingsziekten.

Bij patiënten met NAGS-deficiëntie kan de behandeling al op de eerste levensdag worden gestart en moet het geneesmiddel gedurende het hele leven van de patiënt worden gebruikt. Bij patiënten met organische acidemie wordt de behandeling gestart wanneer de patiënt een hyperammoniëmie-crisis heeft en wordt de behandeling voortgezet tot het einde van de crisis.



De aanvangsdosis Ucedane is normaal gesproken 100 mg per kilo lichaamsgewicht, maar zo nodig kan de dosis worden verhoogd tot maximaal 250 mg/kilo. De dosis dient vervolgens te worden aangepast om een normaal ammoniakgehalte in het bloed te handhaven.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Ucedane.

Hoe werkt Ucedane?

Wanneer ammoniak zich in het bloed ophoopt, is dit toxisch voor het lichaam, met name voor de hersenen. De werkzame stof in Ucedane, carglumaatzuur, lijkt qua structuur sterk op N-acetylglutamaat, wat een enzym activeert dat ammoniak afbreekt. Ucedane helpt dus ammoniak af te breken, waardoor het ammoniakgehalte in het bloed en de toxische effecten ervan afnemen.

Hoe is Ucedane onderzocht?

De voordelen en risico's van de werkzame stof in de goedgekeurde toepassing zijn reeds onderzocht in studies met het referentiegeneesmiddel Carbaglu en hoeven dus niet nogmaals te worden onderzocht voor Ucedane.

Zoals voor elk geneesmiddel heeft het bedrijf studies naar de kwaliteit van Ucedane overgelegd. Het bedrijf heeft tevens een studie verricht die heeft aangetoond dat het geneesmiddel 'biologisch equivalent' is aan het referentiegeneesmiddel. Twee geneesmiddelen zijn biologisch equivalent wanneer ze dezelfde concentraties van de werkzame stof in het lichaam produceren en daarom naar verwachting hetzelfde effect zullen hebben.

Welke voordelen en risico's heeft Ucedane?

Aangezien Ucedane een generiek geneesmiddel is en biologisch equivalent aan het referentiegeneesmiddel, worden de voordelen en risico's van het middel geacht dezelfde te zijn als die van het referentiegeneesmiddel.

Waarom is Ucedane geregistreerd in de EU?

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat overeenkomstig de EU-eisen is aangetoond dat Ucedane van vergelijkbare kwaliteit is als en biologisch equivalent aan Carbaglu. Daarom was het Geneesmiddelenbureau van mening dat, net als voor Carbaglu, de voordelen van Ucedane groter zijn dan de vastgestelde risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Ucedane te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Ucedane, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Overige informatie over Ucedane

Op 23 juni 2017 is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Ucedane verleend.

Meer informatie over Ucedane is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ucedane

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 08-2021.