



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Carbaglu

kwas kargluminowy

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego preparatu Carbaglu. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie preparatu Carbaglu do obrotu, oraz zaleceń w sprawie warunków stosowania preparatu.

Co to jest Carbaglu?

Preparat Carbaglu jest lekiem zawierającym substancją czynną – kwas kargluminowy. Preparat jest dostępny w postaci rozpuszczalnych tabletek. Określenie „rozpuszczalne” oznacza, że tabletki można rozpuszczać (rozdrobnąć) w wodzie.

W jakim celu stosuje się preparat Carbaglu?

Preparat Carbaglu stosuje się w leczeniu hiperamonemii (podwyższony poziom amoniaku we krwi) u pacjentów z następującymi chorobami metabolicznymi:

- niedobór syntazy N-acetyloglutaminiowej (NAGS). Pacjenci z tą chorobą na całe życie mają niedobór enzymu wątrobowego zwanego NAGS, który zazwyczaj pomaga rozkładać amoniak. Gdy enzym ten nie występuje, amoniak nie ulega rozkładowi i gromadzi się we krwi.
- pewne acydemie organiczne (acydemia izowalerianowa, acydemia metylomalonowa i acydemia propionowa), w których u pacjentów występuje brak niektórych enzymów uczestniczących w przemianie białek.

Ze względu na to, że liczba pacjentów z wymienionymi chorobami jest niska, choroby te są uważane za rzadko występujące i dlatego też preparat Carbaglu uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w różnych terminach (zob. poniżej).

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.



Jak stosować preparat Carbaglu?

Leczenie preparatem Carbaglu powinien rozpoczynać lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów z chorobami metabolicznymi.

U pacjentów z niedoborem NAGS leczenie można rozpocząć już pierwszego dnia życia, a lek będzie stosowany przez pacjenta przez całe życie. U pacjentów z acydemiami organicznymi leczenie rozpoczyna się, gdy pacjent ma kryzys hiperamonemiowy, i jest kontynuowane aż do zakończenia się kryzysu.

Początkowa dawka dobową preparatu Carbaglu powinna wynosić 100 mg na kilogram masy ciała, ale dawkę można w razie konieczności zwiększyć nawet do 250 mg/kg. Dawkę należy następnie dostosować w taki sposób, aby utrzymać prawidłowy poziom amoniaku we krwi. Przed podaniem pacjentowi, tabletki należy rozpuścić (rozdrobnąć) w małej ilości wody. Można je łatwo podzielić na pół.

Jak działa preparat Carbaglu?

Gdy amoniak gromadzi się we krwi, działa toksycznie na organizm, zwłaszcza na mózg. Preparat Carbaglu ma strukturę bardzo zbliżoną do N-acetyloglutaminianu, który aktywuje enzym rozkładający amoniak. W ten sposób preparat Carbaglu pomaga w rozkładaniu amoniaku, zmniejszając poziom amoniaku we krwi oraz jego toksyczność.

Jak badano preparat Carbaglu?

Preparat Carbaglu oceniano u 20 pacjentów, z których 12 miało niedobór NAGS i byli oni leczeni średnio przez około trzy lata. Pozostałych 8 pacjentów leczono z powodu hiperamonemii z innych przyczyn. Firma przedstawiła również informacje z opublikowanego piśmiennictwa na temat kolejnych czterech pacjentów leczonych substancją czynną preparatu Carbaglu.

Preparat Carbaglu oceniano u 57 pacjentów (ok. 2/3 stanowiły noworodki) z acydemią izowalerianową, acydemią metylomalonową i acydemią proprionową, których leczono preparatem Carbaglu w trakcie kryzysów hiperamonemiowych.

We wszystkich badaniach główną miarą skuteczności była zmiana poziomu amoniaku we krwi.

Jakie korzyści ze stosowania preparatu Carbaglu zaobserwowano w badaniach?

U pacjentów z niedoborem NAGS po leczeniu preparatem Carbaglu poziom amoniaku wracał do normy. Stabilny stan pacjentów stosujących preparat Carbaglu można utrzymać bez konieczności stosowania ograniczeń dietetycznych ani innych leków.

U pacjentów z acydemią izowalerianową, acydemią metylomalonową i acydemią proprionową preparat Carbaglu również powodował spadek poziomu amoniaku we krwi po średnio 5,5 dniach leczenia.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem preparatu Carbaglu?

Najczęstszym działaniem niepożądanym związanym ze stosowaniem preparatu Carbaglu (obserwowanym u 1 do 10 pacjentów na 100) jest nadmierne pocenie się. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem preparatu Carbaglu znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Preparatu Carbaglu nie należy podawać osobom, u których może występować nadwrażliwość (alergia) na kwas kargluminowy lub którykolwiek składnik preparatu. Preparatu Carbaglu nie należy stosować u kobiet karmiących piersią.

Na jakiej podstawie zatwierdzono preparat Carbaglu?

CHMP uznał, że preparat Carbaglu jest skuteczny w obniżaniu poziomu amoniaku we krwi do normalnego stężenia, i stwierdził, że korzyści ze stosowania preparatu Carbaglu przewyższają ryzyko. Komitet zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie preparatu Carbaglu do obrotu.

Inne informacje dotyczące preparatu Carbaglu

W dniu 24 stycznia 2003 r. Komisja Europejska przyznała firmie Orphan Europe pozwolenie na dopuszczenie preparatu Carbaglu do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej. Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu przyznano na czas nieokreślony.

Streszczenia opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczące preparatu Carbaglu znajdują się na stronie internetowej Agencji: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations ([niedobór NAGS](#): 18 października 2000 r.; [acydemia izowalerianowa](#): 7 listopada 2008 r.; [acydemia metylomalonowa](#): 7 listopada 2008 r.; [acydemia proprionowa](#): 7 listopada 2008 r.).

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące preparatu Carbaglu znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports.

W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia preparatem Carbaglu należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także częścią EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 05-2011.