



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ucedane (*kwas kargluminowy*)

Przegląd wiedzy na temat leku Ucedane i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Ucedane i w jakim celu się go stosuje

Ucedane jest lekiem stosowanym w leczeniu hiperamonemii (wysokiego stężenia amoniaku we krwi) u pacjentów z następującymi chorobami metabolicznymi:

- niedobór syntazy N-acetyloglutaminianowej (NAGS). U pacjentów cierpiących na tę trwającą całe życie chorobę występuje brak enzymu wątrobowego nazywanego skrótowo NAGS, który w normalnych warunkach pomaga rozkładać amoniak. Brak enzymu uniemożliwia rozkład amoniaku i powoduje jego gromadzenie się we krwi,
- niektóre kwasice organiczne (kwasica izowalerianowa, kwasica metylomalonowa i kwasica propionowa), w przypadku których u pacjenta nie występują pewne enzymy uczestniczące w metabolizmie białek.

Ucedane zawiera substancję czynną kwas kargluminowy i jest lekiem generycznym. Oznacza to, że lek Ucedane zawiera tę samą substancję czynną i działa w taki sam sposób jak lek referencyjny o nazwie Carbaglu, który jest już dopuszczony do obrotu w Unii Europejskiej (UE). Więcej informacji na temat leków generycznych znajduje się w dokumencie z pytaniami i odpowiedziami [tutaj](#).

Jak stosować lek Ucedane

Lek Ucedane jest dostępny w postaci tabletek (200 mg) do sporządzania zawiesiny doustnej, które należy rozproszyc (wymieszać) w niewielkiej ilości wody. Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpocząć lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów z chorobami metabolicznymi.

U pacjentów z niedoborem NAGS leczenie można rozpocząć już w pierwszym dniu życia, a lek jest stosowany przez całe życie pacjenta. U pacjentów z kwasicami organicznymi leczenie rozpoczyna się w momencie wystąpienia u pacjenta przełomu hiperamonemicznego i trwa do czasu zakończenia przełomu.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Początkowa dawka dobową leku Ucedane powinna wynosić 100 mg na kilogram masy ciała, ale w razie potrzeby można stosować dawkę do 250 mg/kg masy ciała. Następnie dawkę należy dostosować w celu utrzymania prawidłowego stężenia amoniaku we krwi.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Ucedane znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Ucedane

Gromadzenie się amoniaku we krwi jest toksyczne dla organizmu, zwłaszcza dla mózgu. Substancja czynna leku Ucedane, kwas kargluminowy, ma bardzo podobną strukturę do N-acetyloglutaminianu, który jest aktywatorem enzymu rozkładającego amoniak. W związku z tym lek Ucedane pomaga rozkładać amoniak, obniżając jego stężenie we krwi i ograniczając jego toksyczne działanie.

Jak badano lek Ucedane

Przeprowadzono już badania nad korzyściami i ryzykiem związanymi z substancją czynną w zatwierdzonym wskazaniu dla leku referencyjnego, Carbaglu, i nie trzeba ich powtarzać dla leku Ucedane.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, firma przedstawiła badania jakości leku Ucedane. Firma przeprowadziła również badanie wykazujące, że jest to lek biorównoważny z lekiem referencyjnym. Dwa leki są wtedy biorównoważne, kiedy osiągają takie same stężenia substancji czynnej w organizmie i dlatego spodziewane jest takie samo działanie leków

Korzyści i ryzyko związane ze stosowaniem leku Ucedane

Ponieważ lek Ucedane jest lekiem generycznym, biorównoważnym z lekiem referencyjnym, uznaje się, że z jego stosowaniem wiążą się takie same korzyści i ryzyko jak w przypadku leku referencyjnego.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Ucedane w UE

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że zgodnie z wymogami UE wykazano, że lek Ucedane jest porównywalny pod względem jakości i jest biorównoważny z lekiem Carbaglu. Dlatego też Agencja wyraziła opinię, że — podobnie jak w przypadku leku Carbaglu — korzyści ze stosowania leku Ucedane przewyższają rozpoznane ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Ucedane

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Ucedane w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Ucedane

W dniu 23 czerwca 2017 r. lek Ucedane otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Dalsze informacje na temat leku Ucedane znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ucedane

Data ostatniej aktualizacji: 08.2021.