



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumo do EPAR destinado ao público

Carbaglu

ácido carginómico

Este documento é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Carbaglu. O seu objectivo é explicar o modo como o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) avaliou o medicamento a fim de emitir um parecer favorável à concessão de uma autorização de introdução no mercado, bem como as suas recomendações sobre as condições de utilização do Carbaglu.

O que é o Carbaglu?

O Carbaglu é um medicamento que contém a substância activa ácido carginómico. Está disponível em comprimidos dispersíveis, ou seja, comprimidos que podem ser dispersos (misturados) em água.

Para que é utilizado o Carbaglu?

O Carbaglu é utilizado no tratamento da hiperamoníemia (níveis elevados de amónia no sangue) em doentes com as seguintes doenças metabólicas:

- deficiência de uma enzima denominada N-acetilglutamato sintetase ou NAGS. As pessoas com esta doença crónica carecem de uma enzima hepática denominada NAGS. Normalmente, esta enzima contribui para eliminar o amoníaco. Se a enzima não estiver presente, o amoníaco não pode ser eliminado e acumula-se no sangue;
- algumas acidúrias orgânicas (acidúria isovalérica, acidúria metilmalónica e acidúria propiónica) em que os doentes carecem de determinadas enzimas envolvidas no metabolismo proteico.

Dado o número de doentes afectados por estas doenças ser reduzido, as doenças são consideradas "raras", pelo que o Carbaglu foi designado "medicamento órfão" (medicamento utilizado em doenças raras) em diversas datas (ver abaixo).

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica.



Como se utiliza o Carbaglu?

O tratamento com o Carbaglu deve ser iniciado por um médico com experiência no tratamento de pessoas com doenças do metabolismo.

Nos doentes com deficiência de NAGS, o tratamento pode ser iniciado logo no primeiro dia de vida. O medicamento é utilizado durante toda a vida do doente. Nos doentes com acidúrias orgânicas, o tratamento é iniciado quando o doente sofre uma crise de hiperamoniemia e é continuado até que a crise passe.

A dose diária inicial de Carbaglu deve ser de 100 mg por quilograma de peso corporal, embora possa ser administrada uma dose máxima de 250 mg/kg, se necessário. A dose deve ser ajustada de modo a assegurar a manutenção de níveis normais de amoníaco no sangue. Os comprimidos devem ser dispersos (misturados) numa pequena quantidade de água antes de serem administrados ao doente. Os comprimidos podem ser facilmente divididos em duas partes iguais.

Como funciona o Carbaglu?

Quando o amoníaco se acumula no sangue, torna-se tóxico para o corpo, em especial para o cérebro. O Carbaglu tem uma estrutura muito similar à do N-acetilglutamato, que activa uma enzima que elimina o amoníaco. Em consequência, o Carbaglu contribui para eliminar o amoníaco e reduz os níveis de amoníaco no sangue, diminuindo, deste modo, a toxicidade.

Como foi estudado o Carbaglu?

O Carbaglu foi estudado em 20 doentes, 12 dos quais sofriam da deficiência de NAGS e foram tratados durante uma média de 3 anos. Os restantes oito doentes foram tratados contra a hiperamoniemia com outra causa. A empresa apresentou também informações publicadas sobre mais quatro doentes tratados com a substância activa do Carbaglu.

O Carbaglu foi igualmente estudado em 57 doentes (cerca de dois terços dos quais eram recém-nascidos) com acidúria isovalérica, acidúria metilmalónica e acidúria propiónica, que foram tratados com o Carbaglu durante as crises de hiperamoniemia.

Em todos os estudos, o principal parâmetro de eficácia foi a alteração dos níveis de amoníaco no sangue.

Qual o benefício demonstrado pelo Carbaglu durante os estudos?

Nos doentes com deficiência de NAGS, os níveis de amoníaco voltaram ao normal após o tratamento com o Carbaglu. Foi possível manter estáveis os doentes a tomar o Carbaglu sem grandes restrições dietéticas e sem necessitarem de tomar outros medicamentos.

Nos doentes com acidúria isovalérica, acidúria metilmalónica e acidúria propiónica, o Carbaglu induziu ainda uma diminuição dos níveis de amoníaco no sangue, após uma média de 5,5 dias de tratamento.

Qual é o risco associado ao Carbaglu?

O efeito secundário mais frequente associado ao Carbaglu (observado em 1 a 10 em cada 100 doentes) é o aumento da sudação. Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente ao Carbaglu, consulte o Folheto Informativo.

O Carbaglu não deve ser administrado a pessoas que possam ser hipersensíveis (alérgicas) ao ácido carginólico ou a qualquer outro componente do medicamento. A utilização do Carbaglu é contraindicada em mulheres que estejam a amamentar.

Por que foi aprovado o Carbaglu?

O CHMP concluiu que o Carbaglu foi eficaz na redução do amoníaco do sangue para níveis normais e concluiu que os benefícios do Carbaglu são superiores aos seus riscos. O Comité recomendou a concessão de uma autorização de introdução no mercado para o Carbaglu.

Outras informações sobre o Carbaglu:

Em 24 de janeiro de 2003, a Comissão Europeia concedeu à Orphan Europe uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Carbaglu. A Autorização de Introdução no Mercado é válida por um período de tempo ilimitado.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Carbaglu pode ser consultado no sítio Web da Agência: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations) ([Deficiência de NAGS](#): 18 de Outubro de 2000; [acidúria isovalérica](#): 7 de Novembro de 2008; [acidúria metilmalónica](#): 7 de Novembro de 2008; [acidúria propiónica](#): 7 de Novembro de 2008).

O EPAR completo sobre o Carbaglu pode ser consultado no sítio Web da Agência em: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Para mais informações sobre o tratamento com o Carbaglu, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Este resumo foi actualizado pela última vez em 05-2011.