

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Carbaglu

acid carglumeric

Prezentul document este un rezumat al Raportului european public de evaluare (EPAR) pentru Carbaglu. Documentul explică modul în care Comitetul pentru produse medicamentose de uz uman (CHMP) a evaluat medicamentul, pentru a emite avizul în favoarea acordării autorizației de introducere pe piață și recomandările privind condițiile de utilizare pentru Carbaglu.

Ce este Carbaglu?

Carbaglu este un medicament care conține substanța activă acid carglumeric. Este disponibil sub formă de comprimate dispersabile. „Dispersabil” înseamnă că comprimatele se pot dispersa (amesteca) în apă.

Pentru ce se utilizează Carbaglu?

Carbaglu se folosește pentru tratarea hiperamoniemiei (concentrații ridicate de amoniac în sânge) în cazul pacienților cu următoarele boli metabolice:

- deficiență de N-acetilglutamat sintetază (NAGS). Pacienților cu această boală cronică le lipsește o enzimă numită NAGS, care ajută de obicei la descompunerea amoniacului. Dacă enzima nu este prezentă, amoniacul nu se poate descompune și se acumulează în sânge;
- unele acidemii organice (acidemie izovalerică, acidemie metilmalonică și acidemie propionică) în care pacienților le lipsesc anumite enzime implicate în metabolizarea proteinelor.

Deoarece numărul pacienților cu aceste afecțiuni este scăzut, ele sunt considerate „rare”, iar Carbaglu a fost desemnat „medicament orfan”(un medicament folosit în boli rare) la diferite date (a se vedea mai jos).

Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă.

Cum se utilizează Carbaglu?

Tratamentul cu Carbaglu trebuie început de un medic cu experiență în tratarea pacienților cu boli metabolice.

La pacienții cu deficiență de NAGS, tratamentul poate fi început chiar din prima zi de viață, iar medicamentul se administrează pe întreaga durată a vieții pacientului. La pacienții cu acidemii organice, tratamentul este început când pacientul are o criză de hiperamoniemie și se continuă până la terminarea crizei.

Doza zilnică inițială de Carbaglu trebuie să fie de 100 mg per kilogram de masă corporală, dar se pot administra până la 250 mg/kg, dacă este cazul. Doza trebuie apoi modificată pentru a se menține concentrația de amoniac din sânge la valori normale. Comprimatele trebuie dispersate (amestecate) într-o cantitate mică de apă, înainte de a fi administrate pacientului. Se pot rupe ușor în două jumătăți.

Cum acționează Carbaglu?

Acumularea amoniacului în sânge este toxică pentru organism, în special pentru creier. Carbaglu este foarte asemănător ca structură cu N-acetilglutamat, care activează o enzimă care descompune amoniacul. Prin urmare, Carbaglu ajută la descompunerea amoniacului, reducând concentrația de amoniac din sânge și efectele sale toxice.

Cum a fost studiat Carbaglu?

Carbaglu a fost studiat pe 20 de pacienți, din care 12 au prezentat deficiență de NAGS și au fost tratați, în medie, timp de aproximativ trei ani. Ceilalți opt pacienți au fost tratați pentru hiperamoniemie datorată unei alte cauze. De asemenea, compania a prezentat informații din literatura de specialitate cu privire la alți patru pacienți tratați cu substanța activă conținută de Carbaglu.

Carbaglu a fost studiat și pe 57 de pacienți (din care aproximativ două treimi erau sugari) cu acidemie izovalerică, acidemie metilmalonică sau acidemie propionică, tratați cu Carbaglu în timpul crizelor de hiperamoniemie.

În toate studiile, principala măsură a eficacității a fost modificarea concentrației de amoniac în sânge.

Ce beneficii a prezentat Carbaglu pe parcursul studiilor?

La pacienții cu deficiență de NAGS, concentrația de amoniac a revenit la valori normale după tratamentul cu Carbaglu. Boala pacienților tratați cu Carbaglu a putut fi stabilizată fără să fie nevoie de restricții de dietă sau de utilizarea altor medicamente.

La pacienții cu acidemie izovalerică, acidemie metilmalonică sau acidemie propionică, Carbaglu a produs, de asemenea, o scădere a concentrației de amoniac din sânge, în urma unui tratament de 5,5 zile în medie.

Care sunt riscurile asociate cu Carbaglu?

Cel mai frecvent efect secundar asociat cu Carbaglu (observat la 1 până la 10 pacienți din 100) este transpirația abundentă. Pentru lista completă a efectelor secundare raportate asociate cu Carbaglu, a se consulta prospectul.

Carbaglu nu se administrează persoanelor care pot fi hipersensibile (alergice) la acidul carglamic sau la oricare dintre celelalte ingrediente. Carbaglu este contraindicat la femeile care alăptează.

De ce a fost aprobat Carbaglu?

CHMP a concluzionat că Carbaglu a fost eficace în reducerea amoniacului din sânge la valori normale și a decis că beneficiile Carbaglu sunt mai mari decât riscurile asociate. Comitetul a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru Carbaglu.

Alte informații despre Carbaglu

Comisia Europeană a acordat Orphan Europe o autorizație de introducere pe piață pentru Carbaglu, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 24 ianuarie 2003. Autorizația de introducere pe piață este valabilă pe perioadă nelimitată.

Rezumatele avizului Comitetului pentru produse medicamentoase orfane pentru Carbaglu sunt disponibile pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations) ([deficiență de NAGS](#): 18 octombrie 2000; [acidemie izovalerică](#): 7 noiembrie 2008; [acidemie metilmalonică](#): 7 noiembrie 2008; [acidemie propionică](#): 7 noiembrie 2008).

EPAR-ul complet pentru Carbaglu este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Carbaglu, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 05-2011.