



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Carbaglu

kyselina karglumová

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Carbaglu. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a dospel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek Carbaglu.

Čo je liek Carbaglu?

Carbaglu je liek obsahujúci účinnú látku kyselinu karglumovú. Je dostupný vo forme dispergovateľných tabliet. Dispergovateľný znamená, že tablety sa dajú rozpúšťať (miešať) vo vode.

Na čo sa liek Carbaglu používa?

Liek Carbaglu sa používa na liečbu hyperamonémie (zvýšenej hladiny amoniaku v krvi) u pacientov s týmito metabolickými chorobami:

- nedostatok N-acetylglutamátsyntetázy (NAGS). Pacientom, ktorí trpia touto celoživotnou chorobou, chýba pečňový enzým nazývaný NAGS, ktorý zvyčajne pomáha rozkladať amoniak. Ak tento enzým nie je prítomný, amoniak sa nerozkladá a hromadí sa v krvi;
- niektoré organické acidémie (isovalerická acidemia, metylmalonická acidemia a propionická acidemia), v prípade ktorých pacientom chýbajú určité enzýmy, ktoré sa podieľajú na metabolizme proteínov.

Keďže je počet pacientov s týmito ochoreniami nízky, ochorenia sa považujú za zriedkavé, a preto bol liek Carbaglu k rôznym dátumom označený za liek na ojedinelé ochorenia (pozri ďalej).

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.



Ako sa liek Carbaglu užíva?

Liečbu liekom Carbaglu má začať lekár, ktorý má skúsenosti s liečením pacientov s metabolickými chorobami.

U pacientov s nedostatkom NASG možno s liečbou začať hneď v prvý deň života a liek pacient užíva po celý život. U pacientov s organickou acidémiou sa liečba začína vtedy, keď dôjde k vzniku hyperamonemickej krízy, a pokračuje dovtedy, kým kríza nepominie.

Úvodná denná dávka lieku Carbaglu by mala byť 100 mg na kilogram telesnej hmotnosti, pričom, ak je to potrebné, možno použiť až 250 mg/kg. Dávka sa má následne upraviť tak, aby sa udržali normálne hladiny amoniaku v krvi. Tablety sa pred podaním pacientovi majú rozpustiť (zmiešať) v malom množstve vody. Tablety možno ľahko rozdeliť na dve rovnaké polovice.

Akým spôsobom liek Carbaglu účinkuje?

Hromadenie amoniaku v krvi má na telo toxické účinky, predovšetkým na mozog. Liek Carbaglu je svojou štruktúrou veľmi podobný štruktúre N-acetylglutamátu, ktorý aktivuje enzým na rozkladanie amoniaku. Liek Carbaglu preto pomáha rozkladať amoniak, čím znižuje jeho hladinu v krvi a jeho toxické účinky.

Ako bol liek Carbaglu skúmaný?

Liek Carbaglu sa skúmal u 20 pacientov, z ktorých 12 trpeli nedostatkom NAGS a ktorí sa liečili v priemere približne tri roky. Zvyšných osem pacientov bolo liečených na hyperamonémiu z inej príčiny. Spoločnosť takisto predložila informácie z uverejnenej literatúry o ďalších štyroch pacientoch liečených účinnou látkou lieku Carbaglu.

Liek Carbaglu sa takisto skúmal u 57 pacientov (z ktorých približne dve tretiny tvorili novorodenci) s isovalerickou acidémiou, metylmalonickou acidémiou alebo propionickou acidémiou, ktorí boli liečení liekom Carbaglu v čase hyperamonemickej krízy.

Hlavným meradlom účinnosti vo všetkých štúdiách boli zmeny hladiny amoniaku v krvi.

Aký prínos preukázal liek Carbaglu v týchto štúdiách?

U pacientov s nedostatkom NASG sa hladina amoniaku vrátila späť na normálnu úroveň po liečbe liekom Carbaglu. Stav pacientov používajúcich liek Carbaglu bolo možné udržiavať stabilný bez toho, aby bolo potrebné obmedziť stravu, alebo použiť iné lieky.

U pacientov s isovalerickou acidémiou, metylmalonickou acidémiou alebo propionickou acidémiou sa po liečbe liekom Carbaglu v priemernej dĺžke trvania 5,5 dní takisto dosiahlo zníženie hladiny amoniaku v krvi.

Aké riziká sa spájajú s užívaním lieku Carbaglu?

Najčastejší vedľajší účinok lieku Carbaglu (pozorovaný u 1 až 10 pacientov zo 100) je zvýšené potenie. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Carbaglu sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

Liek Carbaglu by nemali užívať osoby, ktoré môžu byť precitlivené (alergické) na kyselinu karglumovú alebo iné zložky lieku. Liek Carbaglu nesmú užívať dojčiacie ženy.

Prečo bol liek Carbaglu povolený?

Výbor CHMP dospel k záveru, že liek Carbaglu bol účinný pri znižovaní hladiny amoniaku v krvi na normálnu úroveň a rozhodol, že prínos lieku Carbaglu je väčší než riziká spojené s jeho používaním. Výbor odporučil vydať povolenie na uvedenie lieku Carbaglu na trh.

Ďalšie informácie o lieku Carbaglu:

Dňa 24. januára 2003 Európska komisia vydala spoločnosti Orphan Europe povolenie na uvedenie lieku Carbaglu na trh platné v celej Európskej únii. Platnosť povolenia na uvedenie na trh je časovo neobmedzená.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na zriedkavé ochorenia o lieku Carbaglu sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations) ([nedostatok NAGS](#): 18. októbra 2000; [isovalerická acidémia](#): 7. novembra 2008; [metylmalonická acidémia](#): 7. novembra 2008; [propionická acidémia](#): 7. novembra 2008).

Úplné znenie správy EPAR o lieku Carbaglu sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports) Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Carbaglu, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľov (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 05-2011