



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ucedane (*kyselina karglumová*)

Prehľad o lieku Ucedane a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Ucedane a na čo sa používa?

Ucedane je liek, ktorý sa používa na liečbu hyperamonémie (vysokej hladiny amoniaku v krvi) u pacientov s týmito metabolickými ochoreniami:

- deficiencia N-acetylglutamátsyntázy (NAGS). Pacientom, ktorí trpia touto celoživotnou chorobou, chýba pečeňový enzým nazývaný NAGS, ktorý zvyčajne pomáha rozkladať amoniak. Ak tento enzým nie je prítomný, amoniak sa nerozkladá a hromadí sa v krvi,
- niektoré organické acidopénie (isovalerická acidémia, metylmalonická acidémia a propiónová acidémia), kde pacientom chýbajú určité enzýmy, ktoré sa podieľajú na metabolizme bielkovín.

Liek Ucedane obsahuje liečivo kyselina karglumová a je to tzv. generický liek. To znamená, že liek Ucedane obsahuje rovnaké liečivo a pôsobí rovnakým spôsobom ako tzv. referenčný liek, ktorý je už v Európskej únii (EÚ) povolený pod názvom Carbaglu. Viac informácií o generických liekoch sa nachádza v dokumente s otázkami a odpoveďami [tu](#).

Ako sa liek Ucedane používa?

Liek Ucedane je k dispozícii vo forme disperzných tabliet (200 mg), ktoré sa majú rozpustiť (zamiešať) v malom množstve vody. Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s metabolickými ochoreniami.

U pacientov s nedostatkom NAGS sa liečba môže začať už v prvý deň života a liek sa používa počas celého života pacienta. U pacientov s organickou acidózou sa liečba začína, keď má pacient hyperamonémiu, a pokračuje až do ukončenia krízy.

Úvodná denná dávka lieku Ucedane má 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.

Viac informácií o používaní lieku Ucedane si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára či lekárnik.

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



Ako liek Ucedane účinkuje?

Hromadenie amoniaku v krvi má na telo toxické účinky, predovšetkým na mozog. Liečivo lieku Ucedane, kyselina karglumová, sa štruktúrou výrazne podobá na N-acetylglutamát, ktorý aktivuje enzým, ktorý rozkladá amoniak. Liek Ucedane preto pomáha rozkladať amoniak, čím znižuje jeho hladinu v krvi a jeho toxické účinky.

Ako bol liek Ucedane skúmaný?

Štúdie o prínosoch a rizikách liečiva pri schválenom používaní sa už uskutočnili pri referenčnom lieku Carbaglu a nemusia sa opakovať pre liek Ucedane.

Ako pre každý liek, tak aj pre liek Ucedane spoločnosť predložila štúdie o kvalite. Spoločnosť takisto uskutočnila štúdiu, v ktorej sa preukázala biologická rovnocennosť lieku s referenčným liekom. Dva lieky sú biologicky rovnocenné, ak v tele vytvárajú rovnaké hladiny liečiva, a preto sa očakáva, že budú mať rovnaký účinok.

Aké sú prínosy a riziká spájané s liekom Ucedane?

Keďže liek Ucedane je generický liek a je biologicky rovnocenný s referenčným liekom, jeho prínosy a riziká sa považujú za rovnaké ako v prípade referenčného lieku.

Prečo bol liek Ucedane povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky dospela k záveru, že v súlade s požiadavkami EÚ bola preukázaná porovnateľná kvalita a biologická rovnocennosť lieku Ucedane s liekom Carbaglu. Agentúra preto usúdila, že tak, ako v prípade lieku Carbaglu, prínos lieku Ucedane je väčší než identifikované riziká a môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Ucedane?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Ucedane boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Ďalšie informácie o lieku Ucedane

Lieku Ucedane bolo dňa 23. júna 2017 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Ucedane sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ucedane

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 08-2021