



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povzetek EPAR za javnost

Carbaglu

kargluminska kislina

Ta dokument je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Carbaglu. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil zdravilo Carbaglu, na podlagi česar je oblikoval mnenje za odobritev dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

Kaj je zdravilo Carbaglu?

Carbaglu je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino kargluminska kislina. Na voljo je v obliki disperzibilnih tablet. „Disperzibilen“ pomeni, da se tablete lahko raztopijo (zmešajo) v vodi.

Za kaj se zdravilo Carbaglu uporablja?

Zdravilo Carbaglu se uporablja za zdravljenje hiperamonemije (povečanih ravni amonijaka v krvi) pri bolnikih z naslednjimi presnovnimi boleznimi:

- pomanjkanje encima N-acetilglutamat sintaze (NAGS). Bolnikom s to vseživljenjsko boleznijo primanjkuje jetrnega encima, imenovanega NAGS, ki običajno sodeluje pri razgradnji amonijaka. Če encim ni prisoten, amonijaka ni mogoče razgraditi, zato se kopiči v krvi;
- nekatere organske acidemije (izovalerična acidemija, metilmalonska acidemija, propionska acidemija), pri katerih bolnikom primanjkuje določenih encimov, potrebnih pri presnovi beljakovin.

Ker je bolnikov s temi boleznimi malo, veljajo te bolezni za redke, zato je bilo zdravilo Carbaglu večkrat (glejte datume spodaj) določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo, ki se uporablja pri redkih boleznih).

Zdravilo se dobi samo na recept.



Kako se zdravilo Carbaglu uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Carbaglu mora uvesti zdravnik z izkušnjami z zdravljenjem bolnikov s presnovnimi boleznimi.

Pri bolnikih s pomanjkanjem encima NAGS se lahko zdravljenje začne že prvi dan po rojstvu, zdravilo pa se uporablja celo življenje. Pri bolnikih z organskimi acidemijami se zdravljenje začne, ko se pri bolniku pojavi hiperamonemična kriza, in se nadaljuje, dokler kriza traja.

Začetni dnevni odmerek zdravila Carbaglu mora znašati 100 mg na kilogram telesne mase, po potrebi pa do 250 mg/kg. Za vzdrževanje normalne ravni amonijaka v krvi je treba odmerek nato ustrezno prilagajati. Tablete je treba raztopiti (zmešati) v manjši količini vode, preden se dajo bolniku. Brez težav jih je mogoče razpoloviti na dve enaki polovici.

Kako zdravilo Carbaglu deluje?

Amonijak, ki se kopiči v krvi, je strupen za telo, zlasti za možgane. Zdravilo Carbaglu je po strukturi zelo podobno N-acetilglutamatu, ki aktivira encim za razgradnjo amonijaka. Zdravilo Carbaglu torej prispeva k razgradnji amonijaka in znižuje njegovo raven v krvi ter tako zmanjšuje toksičnost.

Kako je bilo zdravilo Carbaglu raziskano?

Zdravilo Carbaglu so proučevali pri 20 bolnikih, izmed katerih je 12 bolnikom primanjkovalo encima NAGS in so bili zdravljeni povprečno približno tri leta. Preostalih 8 bolnikov je bilo zdravljenih zaradi hiperamonemije, ki je bila posledica drugečnega vzroka. Družba je tudi predložila informacije iz objavljene literature o dodatnih štirih bolnikih, ki so bili zdravljeni z zdravilno učinkovino v zdravilu Carbaglu.

Zdravilo Carbaglu so proučevali tudi pri 57 bolnikih (od katerih sta bili dve tretjini novorojenčkov) z izovalerično, metilmalonsko ali propionsko acidemijo, ki so zdravilo Carbaglu prejeli med hiperamonemično krizo.

V vseh študijah je bilo glavno merilo učinkovitosti sprememba ravni amonijaka v krvi.

Kakšne koristi je zdravilo Carbaglu izkazalo med študijami?

Pri bolnikih s pomanjkanjem encima NAGS so je po zdravljenju z zdravilom Carbaglu raven amonijaka vrnila na običajno raven. Pri bolnikih, zdravljenih z zdravilom Carbaglu, je bilo mogoče vzdrževati stabilno stanje brez posebnih prehranskih omejitev ali potrebe po jemanju drugih zdravil.

Pri bolnikih z izovalerično, metilmalonsko ali propionsko acidemijo je zdravilo Carbaglu po povprečno 5,5 dneh zdravljenja povzročilo znižanje ravni amonijaka v krvi.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Carbaglu?

Najpogostejši neželeni učinek (opažen pri 1 do 10 bolnikih izmed 100) je povečano znojenje. Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Carbaglu, glejte navodilo za uporabo.

Zdravila Carbaglu ne smejo uporabljati osebe, ki utegnejo biti preobčutljive za (alergične na) kargluminsko kislino ali katero koli drugo sestavino zdravila. Zdravilo Carbaglu se ne sme uporabljati pri ženskah, ki dojijo.

Zakaj je bilo zdravilo Carbaglu odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) zaključil, da je zdravilo Carbaglu učinkovito pri zniževanju ravni amonijaka v krvi na običajno raven in odločil, da so njegove koristi večje od z njim povezanih tveganj. Odbor je priporočil, da se za zdravilo Carbaglu odobri dovoljenje za promet.

Druge informacije o zdravilu Carbaglu

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Carbaglu, veljavno po vsej Evropski uniji, odobrila dne 24. januarja 2003. Dovoljenje za promet z zdravilom velja za nedoločen čas.

Povzetki mnenj Odbora za zdravila sirote o zdravilu Carbaglu so na voljo na spletni strani agencije [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations) ([pomanjkanje NAGS](#): 18. oktobra 2000; [izovalerična acidemija](#): 7. novembra 2008; [metilmalonska acidemija](#): 7. novembra 2008; [propionska acidemija](#): 7. novembra 2008).

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Carbaglu je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20Public%20Assessment%20Reports).

Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Carbaglu preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 05-2011.