

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Carbaglu

kargluminsyra

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Carbaglu. Det förklarar hur Kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt yttrande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas.

Vad är Carbaglu?

Carbaglu är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen kargluminsyra. Det finns som dispergerbara tabletter. Dispergerbar innebär att tabletterna kan lösas upp i vatten.

Vad används Carbaglu för?

Carbaglu används för att behandla hyperammonemi (höga nivåer av ammoniak i blodet) hos patienter med följande metaboliska sjukdomar:

- Brist på N-acetylglutamatsyntas (NAGS). Patienter med denna kroniska sjukdom lider brist på ett leverenzym som kallas NAGS. NAGS hjälper normalt till att bryta ner ammoniak. Om enzymet inte finns kan ammoniak inte brytas ned och det ansamlas i blodet.
- Vissa organiska acidemier (isovalerisk acidemi, metylmalonisk acidemi och propionisk acidemi) där patienterna saknar vissa enzymer som medverkar i nedbrytningen av proteiner (proteinmetabolism).

Eftersom antalet patienter med dessa sjukdomar är litet betraktas sjukdomarna som sällsynta och Carbaglu har klassificerats som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) vid olika tillfällen (se nedan).

Läkemedlet är receptbelagt.

Hur används Carbaglu?

Behandlingen med Carbaglu ska påbörjas av läkare som har erfarenhet av att behandla patienter med ämnesomsättningssjukdomar.

För patienter med NAGS-brist kan behandlingen påbörjas redan första dagen i livet och läkemedlet ges till patienten resten av livet. För patienter med organiska acidemier påbörjas behandlingen när patienten har en hyperammonemikris och den fortsätter tills krisen är över.

Den första dagliga dosen ska vara 100 mg per kilo kroppsvikt, men upp till 250 mg/kg kan ges vid behov. Dosen skall sedan justeras för att bibehålla normala ammoniaknivåer i blodet. Tabletterna ska lösas upp i en liten mängd vatten innan de ges till patienten. De kan lätt delas i två lika halvor.

Hur verkar Carbaglu?

Ammoniak som ansamlas i blodet är giftig för kroppen, särskilt för hjärnan. Carbaglu är i strukturen mycket lik N-acetylglutamat, som aktiverar ett enzym som bryter ned ammoniak. Carbaglu hjälper därför till att bryta ned ammoniak och sänker ammoniaknivåerna i blodet, och dess toxiska effekt.

Hur har Carbaglus effekt undersökts?

Carbaglus effekt har studerats hos 20 patienter. Av dessa hade 12 NAGS-brist och hade i genomsnitt behandlats i ca tre år. De övriga åtta patienterna behandlades för hyperammonemi av annan orsak. Företaget lade också fram information från den publicerade litteraturen för ytterligare fyra patienter som behandlats med den aktiva substansen i Carbaglu.

Carbaglus effekt har också studerats hos 57 patienter (ungefär två tredjedelar var nyfödda) med isovalerisk acidemi, metylmalonisk acidemi och propionisk acidemi och som behandlades med Carbaglu under hyperammonemikriser.

I samtliga studier var huvudeffekt måttet förändringen av ammoniaknivåerna i blodet.

Vilken nytta har Carbaglu visat vid studierna?

Hos patienter med NAGS-brist återgick ammoniaknivåerna till de normala efter behandling med Carbaglu. Patienter som fick Carbaglu kunde hållas stabila utan dietrestriktioner eller användning av andra läkemedel.

För patienter med isovalerisk acidemi, metylmalonisk acidemi och propionisk acidemi innebar Carbaglu också en minskning av ammoniaknivåerna i blodet efter i genomsnitt 5,5 dagars behandling.

Vilka är riskerna med Carbaglu?

Den vanligaste biverkningen (uppträder hos 1–10 patienter av 100) är ökad svettning. Förteckningen över samtliga biverkningar som rapporterats för Carbaglu finns i bipacksedeln.

Carbaglu ska inte ges till personer som kan vara överkänsliga (allergiska) mot kargluminsyra eller något annat innehållsämne. Carbaglu får inte ges till kvinnor som ammar.

Varför har Carbaglu godkänts?

CHMP fann att Carbaglu kunde sänka nivåerna av ammoniak i blodet till det normala och fann att fördelarna med Carbaglu är större än riskerna. Kommittén rekommenderade att Carbaglu skulle godkännas för försäljning.

Mer information om Carbaglu

Den 24 januari 2003 beviljade Europeiska kommissionen Orphan Europe ett godkännande för försäljning av Carbaglu som gäller i hela Europeiska unionen. Godkännandet för försäljning gäller utan tidsbegränsning.

Sammanfattningen av yttrandet om Carbaglu från Kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations) ([NAGS-brist](#): 18 oktober 2000; [isovalerisk acidemi](#): 7 november 2008; [metylmalonisk acidemi](#): 7 november 2008; [propionisk acidemi](#): 7 november 2008).

Det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Mer information om behandling med Carbaglu finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller ditt apotek.

Denna sammanfattning aktualiserades senast 05-2011.