



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ucedane (*kargluminsyra*)

Sammanfattning av Ucedane och varför det är godkänt inom EU

Vad är Ucedane och vad används det för?

Ucedane är ett läkemedel som används för att behandla hyperammonemi (höga nivåer av ammoniak i blodet) hos patienter med följande ämnesomsättningssjukdomar:

- Brist på N-acetylglutamatsyntas (NAGS). Patienter med denna livslånga sjukdom saknar ett leverenzym som kallas NAGS, vilket normalt hjälper till att bryta ner ammoniak. Om enzymet saknas kan ammoniak inte brytas ned och ansamlas i stället i blodet.
- Vissa organiska acidemier (isovalerisk acidemi, metylmalonisk acidemi och propionisk acidemi) där patienterna saknar vissa enzymer som medverkar till proteinomsättningen.

Ucedane innehåller den aktiva substansen kargluminsyra och är ett generiskt läkemedel. Det innebär att Ucedane innehåller samma aktiva substans och verkar på samma sätt som ett "referensläkemedel" som redan är godkänt i EU. Referensläkemedlet är Carbaglu. Mer information om generiska läkemedel finns i dokumentet med frågor och svar [här](#).

Hur används Ucedane?

Ucedane finns som dispergerbara tabletter (200 mg) som löses upp (blandas ut) i en liten mängd vatten. Läkemedlet är receptbelagt och behandling ska inledas av läkare med erfarenhet av att behandla patienter med ämnesomsättningssjukdomar.

Hos patienter med NAGS-brist kan behandlingen påbörjas redan första dagen i livet och läkemedlet ges till patienten livet ut. För patienter med organiska acidemier inleds behandlingen när patienten har en hyperammonemi-kris och fortsätter tills krisen är över.

Den första dagliga dosen av Ucedane ska vara 100 mg per kilogram kroppsvikt, men upp till 250 mg/kg kan ges vid behov. Dosen ska sedan justeras för att bibehålla normala ammoniaknivåer i blodet.

För mer information om hur du använder Ucedane, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

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



Hur verkar Ucedane?

När ammoniak ansamlas i blodet är detta giftigt för kroppen, särskilt för hjärnan. Den aktiva substansen i Ucedane, kargluminsyra, har en struktur som är mycket lik den hos N-acetylglutamat, vilket aktiverar ett enzym som bryter ner ammoniak. Ucedane hjälper därför till att bryta ner ammoniak och minskar nivåerna av ammoniak i blodet och dess giftiga effekter.

Hur har Ucedanes effekt undersökts?

Studier av fördelarna och riskerna med den aktiva substansen vid den godkända användningen har redan utförts med referensläkemedlet Carbaglu och behöver inte utföras på nytt med Ucedane.

Liksom för alla läkemedel har företaget lagt fram studier av kvaliteten på Ucedane. Företaget har också visat i en studie att det är "bioekvivalent" med referensläkemedlet. Två läkemedel är bioekvivalenta när de bildar samma halter av den aktiva substansen i kroppen och förväntas därmed ha samma effekt.

Vilka är fördelarna och riskerna med Ucedane?

Eftersom Ucedane är ett generiskt läkemedel och är bioekvivalent med referensläkemedlet anses dess fördelar och risker vara desamma som för referensläkemedlet.

Varför är Ucedane godkänt i EU?

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att det styrkts att Ucedane i enlighet med EU:s krav har likvärdig kvalitet och är bioekvivalent med Carbaglu. Myndigheten fann därför att fördelarna är större än de konstaterade riskerna, liksom för Carbaglu, och att Ucedane kan godkännas för användning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Ucedane?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Ucedane har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Mer information om Ucedane

Den 23 juni 2017 beviljades Ucedane ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Ucedane finns på EMA:s webbplats:

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 08-2021.