



Ammonaps
natrio fenilbutiratas

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Šis dokumentas yra Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) įvertino atliktus tyrimus ir kokias vaisto vartojimo rekomendacijas pateikė.

Jei Jums reikia išsamesnės informacijos apie Jūsų sveikatos būklę arba gydymą, perskaitykite pakuotės lapelį (EPAR dalis) arba kreipkitės į savo gydytoją ar vaistininką. Jei norite gauti daugiau informacijos apie tai, koku pagrindu buvo priimtos CHMP rekomendacijos, skaitykite mokslinių diskusijų dalį (taip pat EPAR dalis).

Kas yra Ammonaps?

Ammonaps yra vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos natrio fenilbutirato. Gaminamos šio vaisto baltos ovalios tabletės (500 mg) ir granulės (940 mg/g).

Kam vartojamas Ammonaps?

Ammonaps vartojamas šlapalo ciklo sutrikimams gydyti. Šių sutrikimų turintiems pacientams trūksta tam tikrų paprastai kepenyse randamų fermentų, todėl iš jų organizmo nepašalinamas azoto perteklius. Organizme azoto perteklius kaupiasi amoniako pavidalu, o amoniakas yra nuodingas, ypač smegenims.

Ammonaps skirtas pacientams, kuriems trūksta vieno ar daugiau šių fermentų: karbamilfosfato sintetazės, ornitino transkarbamilazės arba argininsukcinato sintetazės. Juo galima gydyti:

- anksti pasireiškusią ligą, t. y. naujagimius, kuriems pirmąjį gyvenimo mėnesį nustatomas visiškas vieno ar daugiau minėtų fermentų trūkumas;
- vėliau pasireiškusią ligą, t. y. pacientus, kurie vėliau nei pirmąjį gyvenimo mėnesį patyrė didelės amoniako koncentracijos sukeltą smegenų pažeidimą.

Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą.

Kaip vartoti Ammonaps?

Gydymą Ammonaps turi stebėti gydytojas, turintis šlapalo ciklo sutrikimų gydymo patirties.

Ammonaps vartojamas kaip kitą gydymą papildantis vaistas kartu laikantis mažo baltymų kiekio dietos siekiant sumažinti suvartojamo azoto kiekį. Paros Ammonaps dozė kiekvienam pacientui nustatoma individualiai ir priklauso nuo jo mitybos, ūgio ir kūno masės. Tiksli paros dozė nustatoma atliekant reguliarius kraujo tyrimus. Ammonaps dozė padalijama į lygias dalis, vartojamas kiekvieną kartą valgant.

Tabletės skirtos suaugusiems ir vaikams, granulės – naujagimiams ir tablečių negalintiems nuryti pacientams. Granulės sumaišomos su maistu arba gėrimu, kuris nedelsiant suvartojamas, arba ištirpinamos vandenyje, kuris pacientui suleidžiamas į skrandį per vamzdelį, įvestą per pilvo sieną arba nosį.

Gydymas Ammonaps yra ilgalaikis ir taikomas, kol pacientui sėkmingai persodinamos kepenys.

Kaip veikia Ammonaps?

Su maistu į organizmą patenka azotas, kuris vėliau pavirsta amoniaku. Šlapalo ciklo sutrikimų turinčio paciento organizmas nepašalina amoniako pertekliaus, todėl susidaro didelė jo koncentracija, galinti sukelti sunkių padarinių sveikatai, pavyzdžiui, negalią, smegenų pažeidimą arba mirtį. Ammonaps veikloji medžiaga natrio fenilbutiratas organizme virsta kita medžiaga – fenilacetatu. Fenilacetatas jungiasi su amino rūgšties gliutaminu, kurio sudėtyje yra azoto. Taip susidaro junginys, kuris iš organizmo šalinamas per inkstus. Tai padeda sumažinti azoto, o kartu ir susidarancio amoniako, kiekį organizme.

Kaip buvo tiriamas Ammonaps?

Ammonaps tirtas su 82 šlapalo ciklo sutrikimų turinčiais pacientais, kurie buvo gydomi Ammonaps ir anksčiau nebuvo gydyti kitais vaistais nuo šios ligos. Ammonaps nebuvo lyginamas su kitais vaistais. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientų išgyvenamumas, bet tyrime taip pat stebėtas hiperamonemijos (amoniako koncentracijos kraujyje padidėjimo) epizodų kiekis, pažintinės funkcijos (gebėjimo galvoti, mokytis ir atsiminti) raida, augimas ir amoniako ir gliutamino koncentracija kraujyje.

Kokia Ammonaps nauda atsiskleidė tyrimų metu?

Maždaug 80 proc. Ammonaps gydytų naujagimių išgyveno. Negydomi naujagimiai paprastai miršta per pirmuosius gyvenimo metus. Pacientų, kuriems liga išsivystė vėliau, išgyvenamumo rodiklis buvo didesnis. Ankstyva diagnozė ir neatidėliotinas gydymas yra svarbūs siekiant sumažinti neįgalumo riziką.

Kokia rizika siejama su Ammonaps vartojimu?

Dažniausi gydymo Ammonaps šalutiniai reiškiniai (pastebėti 1 iš 10 pacientų) yra amenorėja (mėnesinių nebuvimas) ir nereguliarios menstruacijos (nereguliarios mėnesinės), bet jie pasireiškia tik vaisingoms moterims. Kiti dažni šalutiniai reiškiniai yra sutrikusi inkstų funkcija ir kraujo kūnelių kiekio pakitimai (raudonųjų ir baltųjų kraujo kūnelių ir trombocitų). Išsamų visų šalutinių reiškinų, apie kuriuos pranešta gydant Ammonaps, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Ammonaps negalima vartoti asmenims, kurių organizmas gali būti itin jautrus (alergiškas) natrio fenilbutiratui arba bet kuriai kitai vaisto sudedamajai medžiagai. Jo negalima vartoti nėštumo ar žindymo metu.

Kodėl Ammonaps buvo patvirtintas?

Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) pabrėžė, kad šlapalo ciklo sutrikimai yra sunki liga, kuriai gydyti tėra tik keli gydymo būdai, ir kad įrodyta, jog Ammonaps apsaugo nuo amoniako koncentracijos didėjimo. Todėl, nors turima nedaug informacijos, CHMP nusprendė, kad papildomai šlapalo ciklo sutrikimų gydymui skiriamo Ammonaps teikiama nauda yra didesnė už jo keliamą riziką. Komitetas rekomendavo suteikti Ammonaps rinkodaros teisę.

Ammonaps rinkodaros teisę suteikta išimtinėmis aplinkybėmis, nes dėl ligos retumo vaisto tvirtinimo metu nebuvo galimybių gauti išsamios informacijos. Bendrovei pateikus reikalaujamą papildomą informaciją, 2004 m. liepos 6 d. išimtinių aplinkybių sąlyga panaikinta.

Kita informacija apie Ammonaps:

Europos Komisija 1999 m. gruodžio 8 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojančią Ammonaps rinkodaros teisę. Rinkodaros teisę atnaujinta 2004 m. gruodžio 8 d. ir 2009 m. gruodžio 8d. Rinkodaros teisės turėtoja yra bendrovė „Swedish Orphan International AB“.

Išsamų Ammonaps EPAR galima rasti [čia](#).

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2009-12.