

Ammonaps
nátriumfenylobutyrát**Súhrn správy EPAR pre verejnosť**

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR). Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil vykonané štúdie, aby dospel k odporúčaniam, ako používať liek.

Ďalšie informácie o svojom ochorení alebo liečbe môžete získať z písomnej informácie pre používateľov (súčasť správy EPAR) alebo od svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárničky. Ak potrebujete v súvislosti s odporúčaniami výboru CHMP viac informácií, prečítajte si vedeckú rozpravu (súčasť správy EPAR).

Čo je liek Ammonaps?

Ammonaps je liek, ktorý obsahuje účinnú látku nátriumfenylobutyrát. Je dostupný vo forme bielych oválnych tabliet (500 mg) a granulátu (940mg/g).

Na čo sa liek Ammonaps používa?

Liek Ammonaps sa používa na liečbu pacientov s poruchami močovinového cyklu. Títo pacienti sa nedokážu zbaviť dusíkatého odpadu v tele, pretože majú nedostatok niektorých enzýmov, ktoré sa zvyčajne nachádzajú v pečeni. Dusíkatý odpad sa v tele nachádza vo forme amoniaku, ktorý je toxický, a to najmä pre mozog.

Liek Ammonaps sa používa u pacientov, ktorí majú nedostatok jedného alebo viacerých z týchto enzýmov: karbamylfosfátsyntetáza, ornitíntranskarnbamyláza alebo arginínosukcinátsyntetáza. Môže sa použiť u pacientov s týmito formami ochorenia:

- u dojčiat s nástupom ochorenia v ranom veku, ktoré majú úplný nedostatok jedného alebo viacerých z týchto enzýmov počas prvého mesiaca života,
- u pacientov s nástupom ochorenia v neskoršom veku, u ktorých sa prejavuje čiastočný nedostatok enzýmu po dosiahnutí veku jedného mesiaca a u ktorých došlo k poškodeniu mozgu zapríčinenému vysokými hladinami amoniaku).

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Ako sa liek Ammonaps používa?

Na liečbu liekom Ammonaps by mal dozeráť lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s poruchami močovinového cyklu.

Liek Ammonaps sa používa ako doplnková liečba a v kombinácii so špeciálnou diétou s nízkym obsahom bielkovín na zníženie prijímaného množstva dusíka. Denná dávka lieku Ammonaps sa upraví individuálne pre každého pacienta a závisí od stravy, výšky a váhy pacienta. Na zistenie správnej dennej dávky sú potrebné pravidelné krvné testy. Dávka lieku Ammonaps by sa mala rozdeliť na rovnaké množstvá a podávať s každým jedlom.

Tablety sú určené pre dospelých a deti a granulát sa používa u dojčiat a u pacientov, ktorí nedokážu tablety prehltnúť. Granulát sa buď zmieša s jedlom alebo nápojom bezprostredne pred jeho užitím alebo sa rozpustí vo vode predtým, ako sa podá prostredníctvom trubice, ktorá vedie cez brucho alebo nos do žalúdka.

Liečba liekom Ammonaps je dlhodobá a je potrebná dovtedy, kým pacient nepodstúpi úspešnú transplantáciu pečene.

Akým spôsobom liek Ammonaps účinkuje?

Prijímaním bielkovín sa do tela dostáva dusík, ktorý sa následne transformuje na amoniak. Pacienti s poruchami močovinového cyklu nedokážu z tela vylúčiť amoniak, takže môže dosiahnuť vysokú hladinu, čo vedie k vážnym problémom vrátane zdravotného postihnutia, poškodenia mozgu a smrti. Účinná látka lieku Ammonaps, natriumfenylobutyrát, sa v tele premieňa na látku nazvanú fenylacetát. Fenyacetát sa zlučuje s aminokyselinou glutamínom, ktorá obsahuje dusík, a vytvára látku, ktorú z tela dokážu odstrániť obličky. Následne dochádza k zníženiu množstva dusíka v tele, čím sa znižuje množstvo produkovaného amoniaku.

Ako bol liek Ammonaps skúmaný?

Liek Ammonaps sa skúmal u 82 pacientov s poruchami močovinového cyklu, ktorým sa podával liek Ammonaps a ktorí predtým neabsolvovali iné typy liečby tohto ochorenia. Liek Ammonaps sa neporovnával s inou liečbou. Hlavným meradlom účinnosti bola dĺžka prežitia, v štúdiu sa však takisto skúmal počet hyperamonemických príhod (obdobia zvýšenej hladiny amoniaku v krvi), kognitívny vývoj (rozvoj schopnosti myslieť, učiť sa a pamätať si), telesný rast a hladiny amoniaku a glutamínu v krvi.

Aký prínos preukázal liek Ammonaps v týchto štúdiách?

U novorodencov, ktorým sa podával liek Ammonaps, bol celkový pomer prežitia 80 %. Naproti tomu neliečení novorodenci zvyčajne umierajú počas prvého roka života. Pomer prežitia bol vyšší u pacientov, u ktorých sa ochorenie rozvinulo neskôr. Včasná diagnóza a bezprostredná liečba sú dôležité na zníženie rizika zdravotného postihnutia.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Ammonaps?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Ammonaps (pozorované u viac ako 1 pacienta z 10) sú amenorea (prerušenie menštruačného cyklu) a nepravidelná menštruácia (nepravidelný menštruačný cyklus), tieto účinky sa však prejavujú u pacientiek v plodnom veku. Ďalším častým vedľajším účinkom je anomálna funkcia pečene a patologické počty krvných buniek (červených krviniek, bielych krviniek a krvných doštičiek). Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Ammonaps sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

Liek Ammonaps by nemali užívať osoby, ktoré môžu byť precitlivené (alergické) na natriumfenylobutyrát alebo inú zložku lieku. Nesmú ho užívať tehotné alebo dojčiace ženy.

Prečo bol liek Ammonaps schválený?

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) poznamenal, že poruchy močovinového cyklu sú závažných ochorení s obmedzenými dostupnými možnosťami liečenia a že sa preukázalo, že liek Ammonaps zabraňuje prílišnému zvyšovaniu hladiny amoniaku. Výbor CHMP preto napriek obmedzeným dostupným informáciám rozhodol, že prínos lieku Ammonaps je väčší než riziká spojené s jeho užívaním ako prídavnej liečby pri chronickej terapii porúch močovinového cyklu. Výbor odporučil udeliť povolenie na uvedenie lieku Ammonaps na trh.

Liek Ammonaps bol povolený za tzv. mimoriadnych okolností. To znamená, že kvôli zriedkavosti tohto ochorenia boli v čase vydania povolenia k dispozícii len obmedzené informácie. Keďže spoločnosť predložila ďalšie požadované informácie, tzv. mimoriadne okolnosti sa dňa 6. júla 2004 skončili.

Ďalšie informácie o lieku Ammonaps:

Dňa 8. decembra 1999 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Ammonaps na trh, platné v celej Európskej únii. Platnosť povolenia na uvedenie lieku na trh bola predĺžená 8. decembra 2004 a 8. decembra 2009. Držiteľom povolenia na uvedenie lieku na trh je spoločnosť Swedish Orphan International AB.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Ammonaps sa nachádza [tu](#).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 12-2009