

Ammonaps
*Natriumfenylbutyrat***Sammanfattning av EPAR för allmänheten**

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR). Det förklarar hur Kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt de studier som gjorts och hur den kommit fram till sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas. Vill du ha mer information om sjukdomen eller behandlingen kan du läsa bipacksedeln (ingår också i EPAR) eller kontakta din läkare eller ditt apotek. Läs de vetenskapliga slutsatserna (ingår också i EPAR) om du vill ha mer information om vad CHMP bygger sina rekommendationer på.

Vad är Ammonaps?

Ammonaps är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen natriumfenylbutyrat. Det finns som vita ovala tabletter (500 mg) och som granulat (940 mg/g).

Vad används Ammonaps för?

Ammonaps används för att behandla patienter med rubbningar i ureaomsättningen. Dessa patienter kan inte göra sig av med restkväve i kroppen eftersom de saknar vissa enzymer som vanligen finns i levern. I kroppen förekommer restkvävet i form av ammoniak, som är giftigt i synnerhet för hjärnan. Ammonaps ges till patienter som saknar ett eller flera av enzymerna karbamylfosfatsyntetas, ornitintranskARBamylas och arginin succinatsyntetas. Det kan ges till patienter med följande former av sjukdomen:

- Sjukdom med tidig debut hos spädbarn som har fullständig brist på ett eller flera av dessa enzymer inom den första levnadsmånaden.
- Sjukdom med sen debut hos patienter som har partiell brist på ett enzym från en månads ålder och som fått hjärnskador orsakade av höga ammoniaknivåer i blodet.

Läkemedlet är receptbelagt.

Hur används Ammonaps?

Behandling med Ammonaps ska övervakas av läkare med erfarenhet av att behandla patienter med rubbningar i ureaomsättningen.

Ammonaps ges som tillägg till andra behandlingar och tillsammans med en speciell, proteinfattig kost för att öka kväveintaget. Den dagliga dosen Ammonaps anpassas individuellt och beror på patientens kost, längd och vikt. Patienten måste genomgå regelbundna blodprovskontroller för att fastställa rätt daglig dosering. Dosen Ammonaps ska delas upp på lika stora deldoser och tas vid varje måltid.

Tabletterna är avsedda för vuxna och barn och granulatet för spädbarn samt för patienter som inte kan svälja tabletter. Granulatet blandas antingen med mat eller dryck precis före intag eller löses upp i vatten för att ges via en slang genom magen eller näsan till magsäcken.

Ammonaps är en långtidsbehandling och måste intas tills patienten har genomgått en lyckad levertransplantation.

Hur verkar Ammonaps?

När man äter protein får kroppen i sig kväve som sedan omvandlas till ammoniak. Eftersom patienter med rubbningar i ureaomsättningen inte kan göra sig av med ammoniaken i kroppen kan den nå höga

nivåer. Detta kan orsaka allvarliga problem, bland annat invaliditet, hjärnskador och dödsfall. Den aktiva substansen i Ammonaps, natriumfenylbutyrat, omvandlas till ämnet fenylacetat i kroppen. Fenylacetat förenas med aminosyran glutamin som innehåller kväve till ett ämne som kroppen kan göra sig av med genom njurarna. På så sätt sjunker kvävenivåerna i kroppen, vilket minskar mängden ammoniak som bildas.

Hur har Ammonaps effekt undersökts?

Ammonaps har undersökts på 82 patienter med rubbningar i ureaomsättningen som behandlades med Ammonaps och inte hade fått andra behandlingar för sin sjukdom tidigare. Ammonaps jämfördes inte med några andra läkemedel. Det viktigaste effektmåttet var överlevnad, men i studien undersöktes också förekomsten av hyperammonemi (perioder med mycket höga ammoniaknivåer i blodet), kognitiv utveckling (utveckling av förmågan att tänka, lära och komma ihåg), tillväxt och nivåer av ammoniak och glutamin i blodet.

Vilken nytta har Ammonaps visat vid studierna?

Andelen överlevande bland spädbarn som fick Ammonaps var totalt omkring 80 procent. Spädbarn som inte får behandling dör däremot vanligtvis under sitt första levnadsår. Andelen överlevande var högre bland patienter som utvecklat sjukdomen senare i livet. Det är viktigt att diagnosen ställs tidigt och att behandlingen påbörjas omedelbart för att minska risken för invaliditet.

Vilka är riskerna med Ammonaps?

De vanligaste biverkningarna (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) är amenorré (uteblivna menstruationer) eller oregelbundna menstruationer, men dessa uppträder endast hos kvinnor i fertil ålder. Andra vanliga biverkningar är onormal njurfunktion och onormalt antal blodkroppar (röda blodkroppar, vita blodkroppar och blodplättar). Förteckningen över samtliga biverkningar som rapporterats för Ammonaps finns i bipacksedeln.

Ammonaps ska inte ges till personer som kan vara överkänsliga (allergiska) mot natriumfenylbutyrat eller något annat innehållsämne. Det får heller inte ges till kvinnor som är gravida eller ammar.

Varför har Ammonaps godkänts?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att rubbningar i ureaomsättningen är en allvarlig sjukdom med få behandlingsalternativ och att Ammonaps har visat sig förhindra att ammoniaknivåerna i blodet blir för höga. Trots att endast begränsad information fanns tillgänglig fann CHMP därför att fördelarna med Ammonap är större än riskerna som tilläggsterapi vid långtidsbehandling av rubbningar i ureaomsättningen. Kommittén rekommenderade att Ammonaps skulle godkännas för försäljning.

Ammonaps godkändes enligt förfarandet för undantagsfall eftersom det på grund av att sjukdomen är sällsynt endast fanns begränsad information tillgänglig vid tiden för godkännandet. Eftersom företaget har tillhandahållit den kompletterande information som begärdes upphörde villkoret ”i undantagsfall” att gälla den 6 juli 2004.

Mer information om Ammonaps:

Den 8 december 1999 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Ammonaps som gäller i hela Europeiska unionen. Godkännandet för försäljning förlängdes den 8 december 2004 och den 8 december 2009. Innehavaren av godkännandet för försäljning är Swedish Orphan International AB.

Det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) finns i sin helhet [här](#).

Denna sammanfattning aktualiserades senast 12-2009.