



Es un análogo estructural del N-acetilglutamato (NAG), que es el activador natural de la carbamilfosfato sintetasa (CPS), la primera enzima del ciclo de la urea. La CPS transforma el amonio (tóxico) en carbamil fosfato (no tóxico) y se activa tanto con NAG como con ácido carglúmico.

## **USO CLÍNICO**

Es muy efectivo en la deficiencia de N-acetilglutamato sintasa (NAGS) (**A**) e hiperamonemias por inhibición de NAGS -acidemias orgánicas (**A**), deficiencia de arginina (**E**: off-label), hiperinsulinismo/hiperamoniemia (**E**: off-label), administración de valproico (**E**: off-label), trastornos de la beta-oxidación (**E**: off-label).

## **DOSIS Y PAUTAS DE ADMINISTRACIÓN**

El tratamiento con ácido carglúmico debe iniciarse bajo la supervisión de un médico con experiencia en el tratamiento de trastornos metabólicos.

### Posología:

-Para la deficiencia de la N-acetilglutamato sintasa (**A**):

El tratamiento puede comenzar incluso desde el primer día de vida. La dosis inicial debe ser de 100 mg/kg hasta 250 mg/kg si es necesario. Posteriormente debe ajustarse individualmente a fin de mantener niveles plasmáticos de amoníaco normales. A largo plazo, puede no ser necesario aumentar la dosis según el peso corporal siempre que se consiga un control metabólico adecuado; las dosis diarias oscilan de 10 mg/kg a 100 mg/kg.

-Para la acidemia isovalérica, acidemia metilmalónica y acidemia propiónica (**A**):

El tratamiento debe comenzar tras la hiperamonemia en pacientes con acidemia orgánica. La dosis diaria inicial debe ser 100 mg/kg, llegando hasta 250 mg/kg si fuese necesario. Después debe ajustarse individualmente para mantener niveles plasmáticos de amoníaco normales.

-Como tratamiento de urgencia en paciente con hiperamonemia de etiología desconocida o con diagnóstico en el que es potencialmente eficaz: 100mg/kg en una dosis, seguido de 100mg/kg/día repartido en 4 dosis (**E**: off-label).

### Forma de administración:

Se recomienda dividir la dosis diaria total entre dos y cuatro dosis a administrar antes de las comidas. La rotura de los comprimidos por la mitad permite la mayor parte de los ajustes posológicos necesarios. Ocasionalmente, puede ser también útil el uso de cuartos de comprimido para ajustar la posología prescrita por el médico. Los comprimidos se pueden dispersar en un mínimo de 5-10 ml de agua y se pueden ingerir inmediatamente o administrarse mediante un impulso rápido con una jeringa a través de una sonda nasogástrica.

## **CONTRAINDICACIONES**

Alergia al compuesto.

## **PRECAUCIONES**

Los niveles plasmáticos de amoníaco y aminoácidos deben mantenerse dentro de los límites normales. Debido a que se dispone de pocos datos acerca de la seguridad del ácido carginómico, se recomienda una vigilancia sistemática de las funciones hepática, renal y cardíaca y de los parámetros hematológicos.

## **EFFECTOS SECUNDARIOS**

Frecuentes: aumento de la sudoración. Poco frecuentes: elevación de transaminasas, bradicardia, diarrea, vómitos, pirexia.

### **Sobredosis:**

Cuadro simpaticomimético: taquicardia, diaforesis, hipertermia, desasosiego, aumento de la secreción bronquial. Tratamiento de soporte.

## **INTERACCIONES FARMACOLÓGICAS**

No se han efectuado estudios de interacciones específicos. Precaución.

## **DATOS FARMACÉUTICOS**

Lista de excipientes: celulosa microcristalina, laurilsulfato sódico, hipromelosa, croscarmelosa sódica, sílice coloidal anhidro, estearilfumarato sódico.

Periodo de validez: 30 meses. Tras abrir el envase de comprimidos por primera vez: 1 mes

P precauciones especiales de conservación: conservar en nevera (entre 2°C y 8°C). Una vez abierto: no refrigerar. No conservar a temperatura superior a 30° C. Mantener el envase perfectamente cerrado para protegerlo de la humedad.

**Presentaciones comerciales.** *Las presentaciones disponibles en España pueden consultarse online en el Centro de Información de Medicamentos de la AEMPS (CIMA), <http://www.aemps.gob.es/cima>, y en <https://www.aeped.es/comite-medicamentos/pediamecum> en el enlace **Presentaciones** correspondiente a cada ficha.*

## **BIBLIOGRAFÍA**

- Ficha técnica Carbaglú (Agencia Europea del Medicamento <http://www.ema.europa.eu>).
- Protocolo hispano luso de diagnóstico y tratamiento de las hiperamoniemias. 2ª edición. Ergón, Madrid 2009.
- L.F.Villa, editor. Medimecum, guía de terapia farmacológica. 16 edición. España: Adis; 2011.

**Fecha de actualización: enero de 2015.**

**La información disponible en cada una de las fichas del Pediamécum ha sido revisada por el Comité de Medicamentos de la Asociación Española de Pediatría y se sustenta en la bibliografía citada. Estas fichas no deben sustituir en ningún caso a las aprobadas para cada medicamento por la Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios (AEMPS) o la Agencia Europea del Medicamento (EMA).**