

EMEA/H/C/002500

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Pheburane

Natriumphenylbutyrat

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Pheburane. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Pheburane zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Pheburane benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Was ist Pheburane und wofür wird es angewendet?

Pheburane ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Natriumphenylbutyrat enthält. Es wird zur Behandlung von Patienten mit Störungen des Harnstoffzyklus angewendet. Der Körper dieser Patienten ist nicht in der Lage, überschüssigen Stickstoff abzubauen, da ihnen bestimmte Enzyme fehlen, die sich normalerweise in der Leber finden. Überschüssiger Stickstoff liegt im Körper in Form von Ammoniak vor, das, wenn es sich ansammelt, insbesondere für das Gehirn toxisch ist. Pheburane wird bei Patienten angewendet, denen eines bzw. mehrere der folgenden Enzyme fehlen: Carbamylphosphatsynthetase, Ornithintranscarbamylase oder Argininosuccinatsynthetase. Es kann bei Patienten mit den folgenden Erscheinungsformen der Erkrankung angewendet werden:

- „frühmanifeste Form“ der Erkrankung bei Patienten, die während des ersten Lebensmonats einen kompletten Mangel an einem oder mehreren dieser Enzyme aufweisen;
- „spätmanifeste Form“ der Erkrankung bei Patienten, die im Alter von über einem Monat einen teilweisen Mangel an einem oder mehreren dieser Enzyme aufweisen und bei denen es zu hohen Blutammoniakspiegel gekommen ist, die die Gehirnaktivität beeinträchtigen.

Pheburane ist ein „Hybridarzneimittel“. Dies bedeutet, dass es einem „Referenzarzneimittel“ ähnlich ist, das den gleichen Wirkstoff enthält. Pheburane Granulat ist jedoch in einer geringeren Stärke erhältlich

und enthält verschiedene sonstige (inaktive) Bestandteile, um den unangenehmen Geschmack des Wirkstoffs zu überdecken. Das Referenzarzneimittel für Pheburane ist Ammonaps.

Wie wird Pheburane angewendet?

Pheburane ist als Granulat (483 mg/g) erhältlich. Es ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und die Behandlung sollte von einem Arzt überwacht werden, der Erfahrung in der Behandlung von Patienten mit Störungen des Harnstoffzyklus besitzt.

Pheburane wird in Verbindung mit einer speziellen eiweißarmen Diät zur Verringerung der Stickstoffaufnahme angewendet. Die tägliche Dosis Pheburane wird bei jedem Patienten individuell angepasst und richtet sich nach dessen Ernährung, Körpergröße und Körpergewicht. Mithilfe regelmäßiger Blutuntersuchungen wird die geeignete Tagesdosis ermittelt.

Die tägliche Dosis Pheburane sollte verteilt auf gleiche Einzeldosen zu jeder Mahlzeit gegeben werden. Das Granulat kann unmittelbar vor der Einnahme auf Nahrungsmittel gestreut oder in den Mund gegeben und direkt mit einem Getränk geschluckt werden.

Pheburane kann lebenslang angewendet werden, sofern dem Patienten nicht mit Erfolg eine Leber transplantiert worden ist.

Wie wirkt Pheburane?

Mit dem Verzehr von Eiweiß wird dem Körper Stickstoff zugeführt, der in Ammoniak umgewandelt wird. Patienten mit Störungen des Harnstoffzyklus sind nicht in der Lage, Ammoniak aus dem Körper auszuscheiden, sodass dieses sehr hohe Konzentrationen erreichen und zu schwerwiegenden Problemen, darunter Behinderungen, Hirnschädigungen und Tod, führen kann. Der Wirkstoff in Pheburane, Natriumphenylbutyrat, wird im Körper in eine Substanz, das sogenannte Phenylacetat, umgewandelt. Phenylacetat verbindet sich mit der Aminosäure Glutamin, die Stickstoff enthält, und bildet eine Substanz, die dann über die Nieren vom Körper ausgeschieden werden kann. Auf diese Weise können die Stickstoffspiegel im Körper gesenkt und die gebildete Ammoniakmenge verringert werden.

Wie wurde Pheburane untersucht?

Studien mit Patienten beschränkten sich auf Tests, in denen nachgewiesen wurde, dass Pheburane mit dem Referenzarzneimittel, Ammonaps, bioäquivalent ist. Zwei Arzneimittel sind bioäquivalent, wenn sie im Körper zu denselben Wirkstoffkonzentrationen führen.

Welcher Nutzen und welche Risiken sind mit Pheburane verbunden?

Da Pheburane ein Hybridarzneimittel und mit dem Referenzarzneimittel bioäquivalent ist, wird davon ausgegangen, dass es den gleichen Nutzen und die gleichen Risiken wie das Referenzarzneimittel aufweist.

Warum wurde Pheburane zugelassen?

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Agentur gelangte zu dem Schluss, dass gemäß den Anforderungen der EU für Pheburane der Nachweis erbracht wurde, dass es eine mit Ammonaps vergleichbare Qualität aufweist und mit Ammonaps bioäquivalent ist. Deshalb war der CHMP der Ansicht, dass wie bei Ammonaps der Nutzen gegenüber dem festgestellten Risiko überwiegt. Der Ausschuss empfahl, dass Pheburane für die Anwendung in der EU zugelassen wird.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Pheburane ergriffen?

In die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage für Pheburane wurden Sicherheitsinformationen für Pheburane, einschließlich geeigneter Vorsichtsmaßnahmen für Angehörige der Heilberufe und Patienten, aufgenommen.

Weitere Informationen über Pheburane

Am 31. Juli 2013 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Pheburane in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Pheburane finden Sie auf der Website der Agentur: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Pheburane benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 08- 2013 aktualisiert.