



EMA/H/C/002500

## Резюме на EPAR за обществено ползване

---

# Pheburane

sodium phenylbutyrate

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Pheburane. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Pheburane.

За практическа информация относно употребата на Pheburane, пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

## Какво представлява Pheburane и за какво се използва?

Pheburane е лекарство, съдържащо активното вещество натриев фенилбутират (*sodium phenylbutyrate*). Използва се за лечение на пациенти с нарушения в урейния цикъл. Тези пациенти не са способни да изхвърлят от организма отпадъчния азот, тъй като имат недостиг на някои ензими, обикновено произвеждани от черния дроб. В организма отпадъчният азот е под формата на амоняк, който при натрупване става токсичен, особено за мозъка. Pheburane се използва при пациенти, които имат недостиг на един или повече от следните ензими: карбамилфосфатсинтетаза, орнитин транскарбамилаза или аргининсукцинат синтетаза. Може да се използва при пациенти със следните форми на заболяването:

- неонатално начало на заболяването при пациенти, които показват пълен недостиг на един или повече от тези ензими, проявяващ се през първия месец от живота;
- късно начало на заболяването при пациенти, които показват частичен недостиг на един или повече от тези ензими, проявяващ се един месец след раждането, и които имат високи кръвни нива на амоняка, засягащи дейността на мозъка.

Pheburane е „хибридно лекарство“. Това означава, че е подобно на „референтно лекарство“, съдържащо същото активно вещество, но Pheburane гранули са налични с по-ниска концентрация и съдържат различни помощни вещества (неактивни съставки), за да прикрият неприятния вкус на активното вещество. Референтното лекарство за Pheburane е Ammonaps.



## Как се използва Pheburane?

Pheburane се предлага под формата на гранули (483 mg/g). Отпуска се само по лекарско предписание и лечението трябва да се проследява от лекар с опит в лечението на пациенти с нарушения на урейния цикъл.

Pheburane се използва в комбинация със специален хранителен режим с ниско съдържание на протеини за намаляване на приема на азот. Дневната доза Pheburane се определя индивидуално за всеки пациент и зависи от хранителния режим, височината и теглото на пациента. За определяне на правилната дневна доза са необходими редовни кръвни тестове.

Общата дневна доза Pheburane трябва да бъде разделена на равни количества и да се приема по време на всяко хранене. Гранулите могат да се поръсят върху храната непосредствено преди поглъщането ѝ или да се поставят в устата и да се поглъщат директно с напитка.

Pheburane може да се прилага като лечение през целия живот, освен ако пациентът не е преминал успешна чернодробна трансплантация.

## Как действа Pheburane?

Когато приемаме протеини, в организма се натрупва азот, който впоследствие се преобразува в азот. Пациентите с нарушения в урейния цикъл не могат да освобождават амоняка от тялото и той може да достигне високи нива, което води до сериозни проблеми, включително инвалидност, мозъчни нарушения и смърт. Активното вещество във Pheburane, натриев фенилбутират, се преобразува в организма във вещество, наречено фенилацетат. Фенилацетатът се свързва с аминокиселината глутамин, която съдържа азот, и образува вещество, което бъбреците могат да изхвърлят от организма. Това води до намаляване на азотните нива в организма и количеството на произвеждания амоняк.

## Как е проучен Pheburane?

Направените проучвания при пациенти целят да покажат единствено, че Pheburane е биоеквивалентен на референтното лекарство Ammonaps. Две лекарства се считат за биоеквивалентни, когато произвеждат едни и същи нива на активното вещество в организма.

## Какви са ползите и рисковете, свързани с Pheburane?

Тъй като Pheburane е хибридно лекарство и биоеквивалент на референтното лекарство, се приема, че ползите и рисковете са същите като при референтното лекарство.

## Защо Pheburane е разрешен за употреба?

Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на Агенцията заключи, че е доказано, че Pheburane е със сравнимо качество и представлява биоеквивалент на Ammonaps. Поради това CHMP счита, че както при Ammonaps, ползите превишават установените рискове. Комитетът препоръчва Pheburane да бъде разрешен за употреба в ЕС.

## Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Pheburane?

Информация за безопасността е включена в кратката характеристика на продукта и в листовката за Pheburane, включително подходящи предпазни мерки за здравните специалисти и пациентите.

## **Допълнителна информация за Pheburane:**

На 31 юли 2013 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Pheburane, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR за Pheburane може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). За повече информация за лечението с Pheburane прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Дата на последно актуализиране на текста: 08- 2013 г.