



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/002500

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Pheburane

natrii phenylbutyras

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Pheburane. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky použití. Účelem tohoto dokumentu není poskytovat praktické rady o tom, jak přípravek Pheburane používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Pheburane, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

Co je Pheburane a k čemu se používá?

Pheburane je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku natrium-fenylbutyrát. Používá se k léčbě pacientů s poruchami metabolismu močoviny. Tito pacienti nejsou schopni vylučovat z těla odpadní dusík, neboť trpí nedostatkem určitých enzymů, které se obvykle nacházejí v játrech. V těle se odpadní dusík vyskytuje ve formě amoniaku, který je při nahromadění toxický, a to zejména pro mozek. Přípravek Pheburane se používá u pacientů, kteří mají nedostatek jednoho či více následujících enzymů: karbamoylfosfát syntetáza, ornitin-karbamoyltransferáza nebo argininsukcinát syntetáza. Přípravek může být používán u pacientů trpících těmito formami onemocnění:

- „časnou formou“ onemocnění u pacientů, kteří vykazují kompletní nedostatek jednoho nebo více uvedených enzymů v průběhu prvního měsíce života,
- „pozdní formou“ onemocnění u pacientů, kteří vykazují částečný nedostatek jednoho nebo více uvedených enzymů po prvním měsíci života a rovněž vysoké hladiny amoniaku v krvi, jež ovlivnily činnost mozku.

Pheburane je „hybridní léčivý přípravek“. To znamená, že je obdobou „referenčního přípravku“, který obsahuje stejnou léčivou látku. Granule přípravku Pheburane jsou však k dispozici v nižší síle a obsahují odlišné pomocné látky (neléčivé složky), jejichž účelem je zakrýt nepříjemnou chuť léčivé látky. Referenčním přípravkem přípravku Pheburane je přípravek Ammonaps.



Jak se přípravek Pheburane používá?

Přípravek Pheburane je dostupný ve formě granulí (483 mg/g). Výdej tohoto přípravku je vázán na lékařský předpis a léčba by měla probíhat pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s léčbou pacientů trpících poruchami metabolismu močoviny.

Přípravek Pheburane se používá v kombinaci se speciální stravou s nízkým obsahem bílkovin, aby byl snížen příjem dusíku. Denní dávka přípravku Pheburane se stanovuje individuálně pro každého pacienta a závisí na stravě, výšce a tělesné hmotnosti pacienta. Pro stanovení správné denní dávky je třeba pravidelně provádět vyšetření krve.

Denní dávka přípravku Pheburane by měla být rozdělena do stejně velkých dílčích dávek, které by měly být podávány spolu s každým jídlem. Granule mohou být nasypány na jídlo bezprostředně před jeho požitím nebo umístěny do úst a okamžitě spolknuty a zapity nápojem.

Přípravek Pheburane může být nutné používat celoživotně, pokud pacient nepodstoupí úspěšnou transplantaci jater.

Jak přípravek Pheburane působí?

Přijímání bílkovin ve stravě vede k přísunu dusíku do těla, kde se následně přeměňuje na amoniak. Pacienti s poruchou metabolismu močoviny nejsou schopni odbourávat amoniak z těla. Proto u nich dosahuje vysokých hladin, což vede k závažným potížím včetně postižení, poškození mozku a smrti. Natrium-fenylbutyrát, léčivá látka v přípravku Pheburane, se v těle přeměňuje na látku nazývanou fenylacetát. Fenylacetát se slučuje s aminokyselinou glutamin, která obsahuje dusík, a vytváří tak látku, která může být ledvinami z těla vyloučena. Tím se snižují hladiny dusíku v krvi, čímž se zároveň omezuje množství produkovaného amoniaku.

Jak byl přípravek Pheburane zkoumán?

Studie u pacientů se omezily pouze na testy zaměřené na prokázání jeho bioekvivalence s referenčním přípravkem Ammonaps. Dva léčivé přípravky jsou bioekvivalentní, pokud produkují stejné hladiny léčivé látky v těle.

Jaké jsou přínosy a rizika přípravku Pheburane?

Jelikož přípravek Pheburane je hybridní léčivý přípravek, který je bioekvivalentní s referenčním přípravkem, jeho přínosy a rizika se považují za shodné s přínosy a riziky referenčního přípravku.

Na základě čeho byl přípravek Pheburane schválen?

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury dospěl k závěru, že přípravek Pheburane je kvalitativně srovnatelný a bioekvivalentní s přípravkem Ammonaps. Stanovisko výboru CHMP proto bylo takové, že (stejně jako u přípravku Ammonaps) přínosy přípravku Pheburane převyšují zjištěná rizika. Výbor doporučil, aby přípravek Pheburane byl schválen k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Pheburane?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace přípravku Pheburane byly zahrnuty informace o bezpečnosti, včetně příslušných opatření, která by měli dodržovat zdravotničtí pracovníci a pacienti.

Další informace o přípravku Pheburane

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Pheburane platné v celé Evropské unii dne 31. července 2013.

Plné znění Evropské veřejné zprávy o hodnocení (EPAR) pro přípravek Pheburane je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Další informace o léčbě přípravkem Pheburane naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo kontaktujte svého lékaře či lékárníka.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 08-2013.