



EMA/H/C/002500

EPAR - sammendrag for offentligheden

Pheburane

natriumphenylbutyrat

Dette er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Pheburane. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Pheburane bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Pheburane, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Pheburane, og hvad anvendes det til?

Pheburane er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof natriumphenylbutyrat. Det anvendes til behandling af patienter, der lider af forstyrrelser i urinstofcyklus. Disse patienter kan ikke udskille kvælstofholdige affaldsstoffer, fordi de mangler visse enzymer, som normalt findes i leveren. Kvælstofholdige affaldsstoffer findes i kroppen i form af ammoniak, der er giftigt, når det ophobes, navnlig for hjernen. Pheburane anvendes til patienter, der mangler ét eller flere af følgende enzymer: carbamylphosphatsyntetase, ornithintranscarbamylase eller argininosuccinatsyntetase. Det kan anvendes til patienter med følgende former af sygdommen:

- "tidlig sygdomsdebut" hos patienter, hvor ét eller flere af disse enzymer mangler fuldstændigt, inden for den første måned efter fødslen
- "sen sygdomsdebut" hos patienter, der er over en måned gamle og delvis mangler ét eller flere enzymer, og som i blodet har haft højt ammoniakindhold, der har påvirket hjerneaktiviteten.

Pheburane er et "hybridt lægemiddel". Det betyder, at det svarer til et "referencelægemiddel", der indeholder det samme aktive stof, men Pheburane granulat fås i en lavere styrke og med forskellige hjælpestoffer (inaktive indholdsstoffer) til maskering af det aktive stofs ubehagelige smag. Referencelægemidlet for Pheburane er Ammonaps.



Hvordan anvendes Pheburane?

Pheburane fås som granulat (483 mg/g). Det udleveres kun efter recept, og behandling bør overvåges af en læge med erfaring i behandling af patienter med forstyrrelser i urinstofcyklus.

Pheburane anvendes sammen med en særlig lavproteindiet for at begrænse indtagelsen af kvælstof. Den daglige dosis af Pheburane tilpasses den enkelte patient og afhænger af patientens kost, højde og vægt. Der skal regelmæssigt tages blodprøver for at finde frem til den korrekte daglige dosis.

Den daglige dosis Pheburane skal deles i lige store mængder, der indtages med hvert måltid. Granulatet kan blandes i maden, umiddelbart før det synkes eller placeres i munden, eller det kan synkes sammen med væske.

Pheburane kan være en livslang behandling, medmindre patienten har fået en vellykket levertransplantation.

Hvordan virker Pheburane?

Indtagelse af protein tilfører kroppen kvælstof, som herefter omdannes til ammoniak. Patienter med forstyrrelser i urinstofcyklus kan ikke udskille ammoniak, som derfor kan forekomme i høje koncentrationer i kroppen, hvilket kan medføre alvorlige problemer, bl.a. invaliditet, hjerneskade og død. Det aktive stof i Pheburane, natriumphenylbutyrat, omdannes i kroppen til et andet stof kaldet phenylacetat. Phenylacetat bindes til aminosyren glutamin, som indeholder kvælstof, hvorved der dannes et stof, som kan udskilles gennem nyrerne. Det får kvælstofindholdet i kroppen til at falde, hvilket nedsætter produktionen af ammoniak.

Hvordan blev Pheburane undersøgt?

Undersøgelser hos patienter har været begrænset til test for at fastslå, at Pheburane er bioækvivalent med referencelægemidlet Ammonaps. To lægemidler er bioækvivalente, når de frembringer samme mængde af det aktive stof i kroppen.

Hvilke fordele og risici er der forbundet med Pheburane?

Da Pheburane er et hybridt lægemiddel, som er bioækvivalent med referencelægemidlet, anses benefit/risk-forholdet for at være det samme som for referencelægemidlet.

Hvorfor blev Pheburane godkendt?

Agenturets Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) konkluderede, at Pheburane er påvist til at være af sammenlignelig kvalitet og til at være bioækvivalent med Ammonaps. CHMP var derfor af den opfattelse, at fordelene opvejer de identificerede risici som for Ammonaps. Udvalget anbefalede, at Pheburane godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Pheburane?

Der er anført sikkerhedsoplysninger i produktresuméet og indlægssedlen for Pheburane, herunder passende forholdsregler, som sundhedspersonale og patienter skal følge.

Andre oplysninger om Pheburane

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Pheburane den 31. juli 2013.

Den fuldstændige EPAR for Pheburane findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Pheburane, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 08- 2013.