



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/002500

Περίληψη EPAR για το κοινό

Pheburane

φαινυλοβουτυρικό νάτριο

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Pheburane. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του φαρμάκου. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Pheburane.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη λήψη του Pheburane, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευούνται το φύλλο οδηγιών χρήσης ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Pheburane και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Pheburane είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία φαινυλοβουτυρικό νάτριο. Χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών με διαταραχές του κύκλου της ουρίας, που δεν μπορούν να αποβάλουν τα υπολείμματα αζώτου από τον οργανισμό επειδή παρουσιάζουν έλλειψη σε ένζυμα που βρίσκονται συνήθως στο ήπαρ. Τα υπολείμματα αζώτου βρίσκονται στον οργανισμό υπό τη μορφή αμμωνίας, η οποία είναι τοξική όταν συσσωρεύεται, ιδιαίτερα για τον εγκέφαλο. Το Pheburane χορηγείται σε ασθενείς που παρουσιάζουν έλλειψη ενός ή περισσότερων από τα ακόλουθα ένζυμα: συνθετάση του καρβαμυλοφωσφορικού οξέος, ορνιθινοτρανσκαρβαμυλάση ή συνθετάση του αργινινο-ηλεκτρικού οξέος.

Ενδείκνυται για τους ασθενείς με τις ακόλουθες μορφές της νόσου:

- πρώιμη εμφάνιση της νόσου σε ασθενείς που παρουσιάζουν πλήρη έλλειψη ενός ή περισσότερων από τα εν λόγω ένζυμα κατά τον πρώτο μήνα ζωής
- όψιμη εμφάνιση της νόσου σε ασθενείς που παρουσιάζουν μερική έλλειψη ενός ή περισσότερων από τα εν λόγω ένζυμα μετά τον πρώτο μήνα ζωής και οι οποίοι έχουν ιστορικό υψηλών επιπέδων αμμωνίας στο αίμα τα οποία έχουν επηρεάσει τη δραστηριότητα του εγκεφάλου.

Το Pheburane είναι «υβριδικό φάρμακο». Αυτό σημαίνει ότι είναι παρόμοιο με «φάρμακο αναφοράς» που περιέχει την ίδια δραστική ουσία, με τη διαφορά ότι οι κόκκοι Pheburane διατίθενται σε χαμηλότερη περιεκτικότητα και περιέχουν διάφορα έκδοχα (μη δραστικά συστατικά) με στόχο την εξουδετέρωση της



δυσάρεστης γεύσης της δραστικής ουσίας. Το φάρμακο αναφοράς για το Pheburane είναι το Ammonaps.

Πώς χρησιμοποιείται το Pheburane;

Το Pheburane διατίθεται σε μορφή κόκκων (483 mg/g). Χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η θεραπεία πρέπει να επιβλέπεται από γιατρό με εμπειρία στη θεραπεία ασθενών που πάσχουν από διαταραχές του κύκλου της ουρίας.

Το Pheburane χορηγείται σε συνδυασμό με ειδική δίαιτα χαμηλής περιεκτικότητας σε πρωτεΐνες για τη μείωση της πρόσληψης αζώτου. Η ημερήσια δόση Pheburane προσαρμόζεται για κάθε ασθενή ξεχωριστά και εξαρτάται από τη διατροφή, το ύψος και το βάρος του ασθενούς. Απαιτούνται τακτικές εξετάσεις αίματος για τον καθορισμό της σωστής ημερήσιας δόσης.

Η ημερήσια δόση του Pheburane πρέπει να υποδιαιρείται σε ίσες ποσότητες που λαμβάνονται με κάθε γεύμα. Οι κόκκοι μπορούν να αναμειγνύονται με τροφή και να καταπίνονται αμέσως ή να τοποθετούνται στο στόμα και να καταπίνονται απευθείας με ένα υγρό.

Το Pheburane μπορεί να αποτελεί διά βίου αγωγή εκτός και αν έχει πραγματοποιηθεί στον ασθενή επιτυχής μεταμόσχευση ήπατος.

Πώς δρα το Pheburane;

Με την πρόσληψη πρωτεϊνών μέσω της διατροφής, εισέρχεται άζωτο στον οργανισμό, το οποίο στη συνέχεια μετατρέπεται σε αμμωνία. Οι ασθενείς με διαταραχές του κύκλου της ουρίας δεν μπορούν να αποβάλλουν την αμμωνία από τον οργανισμό, η οποία, συνεπώς, συσσωρεύεται σε υψηλή συγκέντρωση, προκαλώντας σοβαρές παθήσεις όπως αναπηρία, βλάβη του εγκεφάλου και θάνατο. Η δραστική ουσία του Pheburane, το φαινυλοβουτυρικό νάτριο, μετατρέπεται στον οργανισμό σε μια ουσία που ονομάζεται φαινυλοξικό. Με την ένωση του φαινυλοξικού με το αμινοξύ γλουταμίνη, το οποίο περιέχει άζωτο, σχηματίζεται μια ουσία που απεκκρίνεται από τον οργανισμό διαμέσου των νεφρών. Έτσι, μειώνεται η συγκέντρωση αζώτου στον οργανισμό και κατά συνέπεια η ποσότητα της παραγόμενης αμμωνίας.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Pheburane;

Οι μελέτες σε ασθενείς περιορίστηκαν σε δοκιμές για τον προσδιορισμό της βιοϊσοδυναμίας του Pheburane με το φάρμακο αναφοράς Ammonaps. Δύο φάρμακα είναι βιοϊσοδύναμα όταν παράγουν τα ίδια επίπεδα δραστικής ουσίας στον οργανισμό.

Ποια είναι τα οφέλη και οι κίνδυνοι του Ammonaps;

Δεδομένου ότι το Pheburane είναι υβριδικό φάρμακο και βιοϊσοδύναμο με το φάρμακο αναφοράς, τα οφέλη και οι κίνδυνοι που συνδέονται με αυτό ταυτίζονται με τα οφέλη και τους κινδύνους του φαρμάκου αναφοράς.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Pheburane;

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Οργανισμού έκρινε ότι έχει αποδειχθεί ότι το Pheburane είναι συγκρίσιμης ποιότητας και βιοϊσοδύναμο με το Ammonaps.

Ως εκ τούτου, η CHMP ήταν της άποψης ότι, όπως και με το Ammonaps, τα οφέλη υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του Pheburane στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Pheburane;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του Pheburane συμπεριλήφθηκαν πληροφορίες σχετικά με την ασφάλεια καθώς και τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς.

Λοιπές πληροφορίες για το Pheburane:

Στις 31 Ιουλίου 2013, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Pheburane.

Η πλήρης EPAR του Pheburane διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Pheburane, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 08 - 2013.