



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/002500

Kokkuvõte üldsusele

Pheburane

naatriumfenüülbutüraat

See on ravimi Pheburane Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloo andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta Pheburane kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate Pheburane kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Mis on Pheburane ja milleks seda kasutatakse

Pheburane on ravim, mis sisaldab toimeainena naatriumfenüülbutüraati. Pheburanet kasutatakse patsientidel, kellel on ureatsükli häire. Nende patsientide organism ei suuda vabaneda jääklämmastikust, sest neil puuduvad teatud maksaensüümid. Jääklämmastik on organismis ammoniaagi kujul, mis on selle kogunemisel eriti mürgine ajule. Pheburanet kasutatakse patsientidel, kellel esineb ühe või enama järgmise ensüümi puudulikkus: karbamüülfosfaadi süntetaas, ornitiintranskarbamülaas või arginiin suktsinaadi süntetaas. Ravimit tohib kasutada järgmiste haigustega patsientidel:

- varase algusega haigus ühe või enama nimetatud ensüümi täieliku puudulikkusega patsientidel esimesel elukuul;
- hilise algusega haigus ühe või enama nimetatud ensüümi osalise puudulikkusega patsientidel, kellel on olnud vere kõrge ammoniaagisisaldusest tingitud ajukahjustus.

Pheburane on hübriidravim. See tähendab, et Pheburane on sarnane võrdlusravimiga, mis sisaldab sama toimeainet, aga Pheburane graanuleid turustatakse väiksema tugevusega ja need sisaldavad teisi abiaineid, mis varjavad toimeaine ebameeldivat maitset. Pheburane võrdlusravim on Ammonaps.

Kuidas Pheburanet kasutatakse?

Pheburanet turustatakse graanulitena (483 mg/g). Pheburane on retseptiravim ja ravi Pheburanega tohib alustada üksnes ureatsükli häirete ravis kogenud arsti järelevalve all.

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu **Website** www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



Pheburanet kasutatakse väikese valgusisaldusega dieediga lämmastiku koguse vähendamiseks. Pheburane ööpäevane annus arvutatakse konkreetse patsiendi järgi ja sõltub patsiendi dieedist, pikkusest ja kehakaalust. Õige ööpäevase annuse arvutamiseks on vaja teha regulaarseid vereanalüüse.

Pheburane ööpäevane annus jagatakse võrdseteks osadeks ja manustatakse söögiaegadel. Graanulid puistatakse toidule vahetult enne allaneelamist või pannakse suhu ja neelatakse kohe alla koos joogiga.

Pheburane-ravi võib olla elukestev, v.a kui patsiendile tehakse edukas maksasiirdamine.

Kuidas Pheburane toimib?

Valkude söömisel saab organism lämmastikku, mis muundatakse ammoniaagiks. Uureatsükli häirega patsientide organism ei suuda vabaneda ammoniaagist, mistõttu selle sisaldus võib muutuda suureks ja tekitada raskeid probleeme, sealhulgas invaliidsust, ajukahjustust ja surma. Pheburane toimeaine naatriumfenüülbutüraat muundub organismis fenüülatsetaadiks. Fenüülatsetaat ühineb lämmastikku sisaldava aminohappe glutamiiniga, tekitades aine, mis väljub organismist neerude kaudu. See võimaldab lämmastikusisalduse vähenemist organismis, mis vähendab omakorda tekkinud ammoniaagi sisaldust.

Kuidas Pheburanet uuriti?

Uuringud piirdusid katsetega, milles näidati Pheburane bioekvivalentsust võrdlusravimiga Ammonaps. Kaks ravimit on bioekvivalentsed, kui mõlemad tekitavad organismis sama toimeainesisalduse.

Milles seisneb Pheburane kasulikkus ja mis riskid ravimiga kaasnevad?

Et Pheburane on hübriidravim ja võrdlusravimiga bioekvivalentne, peetakse tema kasulikkust ja riske samadeks mis võrdlusravimil.

Miks Pheburane heaks kiideti?

Inimravimite komitee järeldas, et on tõendatud Pheburane võrdväärne kvaliteet ja bioekvivalentsus ravimiga Ammonaps. Seetõttu arvas inimravimite komitee, et nagu ka Ammonapsi korral, ületab Pheburane kasulikkus sellega kaasnevad riskid. Komitee soovitas Pheburane kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Pheburane ohutu ja efektiivne kasutamine?

Ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele lisati Pheburane ohutusteave koos vastavate ettevaatusabinõudega tervishoiuspetsialistidele ja patsientidele.

Muu teave Pheburane kohta

Euroopa Komisjon andis Pheburane müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 31. juulil 2013.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Pheburane kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Kui vajate Pheburanega toimiva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 08-2013.