



EMA/H/C/002500

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Pheburane

Nátrium-fenil-butirát

Ez a Pheburane-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Pheburane alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Pheburane alkalmazásával kapcsolatos gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon orvosához vagy gyógyszerészéhez!

Milyen típusú gyógyszer a Pheburane és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Pheburane egy nátrium-fenil-butirát nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. A gyógyszert a karbamidciklus zavarában szenvedő betegek kezelésére alkalmazzák. Ezen betegek szervezete nem képes megszabadulni a felesleges nitrogéntől, mert hiányzik náluk néhány, a májban általában megtalálható enzim. A felesleges nitrogén a szervezetben ammónia formájában van jelen, amely felgyülemlett formában mérgező, különösen az agyra nézve. A Pheburane-t olyan betegek esetében használják, akiknél a következő enzimek közül egy vagy több hiányzik: karbamil-foszfát szintetáz, ornitin-transzkarbamiláz vagy arginin-szukcinát szintetáz. A betegség következő formáiban szenvedő betegek esetében alkalmazható:

- „korán kialakuló” betegség olyan betegek esetében, akiknél ezen enzimek egyike vagy az összes enzim teljes mértékben hiányzik az élet első hónapjában;
- „későn kialakuló” betegség, amikor a betegeknél egy vagy több enzim részlegesen hiányzik az egyhónaposnál idősebb korban, és akiknek az agyát hatás érte a vér magas ammóniaszintje miatt.

A Pheburane „hibrid gyógyszer”. Ez azt jelenti, hogy hasonló egy „referencia-gyógyszerhez”, amely ugyanazt a hatóanyagot tartalmazza, de a Pheburane granulátum alacsonyabb dózisban kerül forgalomba, továbbá különféle segédanyagokat (inaktív segédanyagok) is tartalmaz a hatóanyag kellemetlen ízének elfedésére. A referencia-gyógyszer a Pheburane esetében az Ammonaps.



Hogyan kell alkalmazni a Pheburane-t?

A Pheburane granulátum formájában kerül forgalomba (483 mg/g). A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést olyan orvosnak kell felügyelnie, aki megfelelő tapasztalattal rendelkezik a karbamidciklus zavaraiban szenvedő betegek kezelésében.

A Pheburane-t a nitrogén-felvétel csökkentése érdekében egy speciális fehérjeszegény étrend mellett kell alkalmazni. A Pheburane napi adagját az egyes betegekre szabva kell megállapítani, és az függ a beteg étrendjétől, magasságától és testsúlyától. A megfelelő napi adag megállapításához rendszeres vérérvizsgálatokat kell végezni.

A Pheburane napi adagját egyenlő részekre kell osztani, és minden étkezés alkalmával be kell venni. A granulátumot az ételbe lehet szórni közvetlenül annak lenyelése előtt, vagy a szájba véve, folyadékkal kell azonnal lenyelni.

A Pheburane-t élethosszig lehet szedni, kivéve, ha sikeres májtranszplantációra kerül sor.

Hogyan fejti ki hatását a Pheburane?

Fehérje fogyasztása során nitrogén kerül a szervezetbe, amely aztán ammóniává alakul. A karbamidciklus zavaraiban szenvedő betegek szervezete nem képes megszabadulni az ammóniától, amely így magas szintet érhet el, és súlyos problémákhoz, például rokkantsághoz, agyi károsodáshoz és halálhoz vezethet. A Pheburane hatóanyaga, a nátrium-fenil-butirát, a szervezetben egy fenil-acetát nevű anyaggá alakul át. A fenil-acetát összekapcsolódik a nitrogéntartalmú glutamin aminosavval, egy olyan anyaggá alakulva, amelyet a szervezet a vesén keresztül képes kiválasztani. Ezáltal csökken a nitrogén szintje a szervezetben, csökkentve a termelt ammónia mennyiségét.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Pheburane-t?

A betegek körében végzett vizsgálatok olyan tesztek elvégzésére korlátozódtak, amelyek alapján meg lehetett állapítani, hogy a Pheburane biológiailag egyenértékű-e a referencia-gyógyszerrel, az Ammonaps-szal. Két gyógyszer akkor biológiailag egyenértékű, ha ugyanolyan mennyiségű hatóanyagot eredményeznek a szervezetben.

Milyen előnyökkel és kockázatokkal jár a Pheburane alkalmazása?

Mivel a Pheburane hibrid gyógyszer, és biológiailag egyenértékű a referencia-gyógyszerrel, előnyei és kockázatai azonosnak tekintendők a referencia-gyógyszer előnyeivel és kockázataival.

Miért engedélyezték a Pheburane forgalomba hozatalát?

Az Ügynökség emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) úgy ítélte meg, hogy a Pheburane minőségi szempontból összehasonlíthatónak és biológiailag egyenértékűnek bizonyult az Ammonaps-szal. Ezért a CHMP-nek az volt a véleménye, hogy az Ammonaps-hoz hasonlóan, az előnyök meghaladják az azonosított kockázatokat. A bizottság javasolta a Pheburane EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

Milyen intézkedéseket hoztak a Pheburane biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Pheburane-ra vonatkozó alkalmazási előírásban és betegtájékoztatóban biztonsági információkat, többek között az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket tüntettek fel.

A Pheburane-nal kapcsolatos egyéb információ:

2013. július 31-án az Európai Bizottság a Pheburane-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Pheburane -ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: : [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a Pheburane-nal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon orvosához vagy gyógyszerészéhez!

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 08-2013.