



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/002500

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Pheburane

nātrijs fenilbutirāts

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Pheburane*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra ir novērtējusi šīs zāles, pirms ieteikt tās reģistrēt Eiropas Savienībā un sniegt ieteikumus par *Pheburane* lietošanu. Tas nav paredzēts kā praktiski ieteikumi par *Pheburane* lietošanu.

Lai iegūtu praktisku informāciju par *Pheburane* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsažinās ar ārstu vai farmaceitu.

Kas ir *Pheburane* un kāpēc tās tiek lietotas?

Pheburane ir zāles, kas satur aktīvo vielu nātrijs fenilbutirātu. Tās tiek lietotas, lai pacientiem ārstētu urīnvielas cikla traucējumus. Dažu aknu fermentu trūkuma dēļ šie pacienti nespēj no organisma izvadīt lieko slāpekli. Organismā liekais slāpeklis ir amonjaka formā, kas akumulējoties ir jo īpaši toksisks smadzenēm. *Pheburane* tiek lietotas pacientiem, kuriem trūkst viens vai vairāki šādi fermenti: karbamilfosfātsintetāze, ornitīntranskarnilāze vai arginīnsukcinātsintetāze. Tās var tikt lietotas pacientiem ar šādām slimības formām:

- "agrīnā" slimība pacientiem, kuriem novēro pilnīgu viena vai vairāku šo fermentu trūkumu dzīves pirmā mēneša laikā;
- "vēlīnā" slimība pacientiem, kuriem novēro daļēju viena vai vairāku šo fermentu trūkumu pēc dzīves pirmā mēneša un kuriem asinīs konstatē augstu amonjaka līmeni, kas ietekmē smadzeņu darbību.

Pheburane ir "hibrīdzāles". Tas nozīmē, ka tās ir līdzīgas "atsauces zālēm", kas satur to pašu aktīvo vielu, bet *Pheburane* granulas ir pieejamas zemākā stiprumā un satur atšķirīgas palīgvielas (neaktīvas sastāvdaļas), lai nomāktu aktīvās vielas nepatīkamo garšu. *Pheburane* atsauces zāles ir *Ammonaps*.

Kā lieto *Pheburane*?

Pheburane ir pieejamas granulās (483 mg/g). Tās var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāveic tāda ārsta uzraudzībā, kuram ir pieredze, ārstējot pacientus ar urīnvielas cikla traucējumiem.

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



Pheburane tiek lietotas ar īpašu mazproteīnu diētu uzņemtā slāpekļa daudzuma samazināšanai. *Pheburane* dienas devu pielāgo katram pacientam individuāli, un tā ir atkarīga no pacienta uztura, garuma un svara. Lai noteiktu pareizo dienas devu, ir jāveic regulāras asins analīzes.

Pheburane dienas deva ir jāsadala vienādās daļās un jāieņem katras maltītes laikā. Granulas var tikt uzbērtas uz ēdiena pirms norīšanas, vai arī ieņemtas mutē un nekavējoties norītas ar dzērienu.

Ārstēšana ar *Pheburane* var turpināties visas dzīves garumā, ja vien pacientam nav veiksmīgi izdarīta aknu transplantācija.

Kā *Pheburane* darbojas?

Ēdot proteīnus, organismā nonāk slāpekļi, kas vēlāk pārveidojas par amonjaku. Pacienti ar urīnvielas cikla traucējumiem nespēj no organisma izvadīt amonjaku, līdz ar to amonjaka līmenis var paaugstināties, kā rezultātā rodas smagas problēmas, tostarp invaliditāte, smadzeņu bojājumi, kā arī iestājas nāve. *Pheburane* aktīvā viela nātrija fenilbutirāts organismā pārveidojas par citu vielu, ko dēvē par fenilacetātu. Fenilacetāts savienojas ar slāpekli saturošo aminoskābes glutamīnu, veidojot vielu, ko nieres var izvadīt no organisma. Tas ļauj pazemināt slāpekļa līmeni organismā, samazinot radītā amonjaka daudzumu.

Kā noritēja *Pheburane* izpēte?

Pētījumos ar pacientiem veica tikai testus, lai noteiktu *Pheburane* un atsauces zāļu *Ammonaps* bioekvivalenci. Divas zāles ir bioekvivalentas, ja tās organismā rada vienādu aktīvās vielas līmeni.

Kādi ir *Pheburane* ieguvumi un riski?

Tā kā *Pheburane* ir hibrīdzāles unbioekvivalentas atsauces zālēm, uzskata, ka to ieguvumi un risks ir tādi paši kā atsauces zālēm.

Kāpēc *Pheburane* tika apstiprinātas?

Aģentūras Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (*CHMP*) secināja, ka kvalitātes un bioekvivalences ziņā *Pheburane* ir salīdzināms ar *Ammonaps*. Tāpēc *CHMP* uzskatīja, ka ieguvums, tāpat kā *Ammonaps* gadījumā, pārsniedz apzināto risku. Komiteja ieteica apstiprināt *Pheburane* lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai nodrošinātu drošu un efektīvu *Pheburane* lietošanu?

Drošuma informācija, tostarp attiecīgie piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, ir iekļauti *Pheburane* zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā.

Cita informācija par *Pheburane*

Eiropas Komisija 2013. gada 31. jūlijā izsniedza *Pheburane* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Pheburane* EPAR teksts ir pieejams Aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Pheburane* ir atrodama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 08.2013.