



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/002500

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Pheburane

sodium phenylbutyrate

Dan id-dokument huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Pheburane. Dan jispjega kif l-Aġenzija vvalutat il-medicina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni tagħha fl-UE u l-kondizzjonijiet ta' użu tagħha. Mhux maħsub biex jipprovdi konsultazzjoni prattika fuq l-użu ta' Pheburane.

Għal informazzjoni prattika fuq l-użu ta' Pheburane, il-pazjenti għandhom jaqraw il-fuljett ta' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew spiżjar tagħhom.

X'inhu Pheburane u għal xiex jintuża?

Pheburane huwa medicina li fiha s-sustanza attiva sodium phenylbutyrate. Jintuża biex jikkura pazjenti li jkollhom disturbi fiċ-ċiklu tal-urea. Dawn il-pazjenti ma jkunux jistgħu jneħħu n-nitroġenu żejjed minn ġisimhom minħabba li huma neqsin minn xi enzimi li normalment jinstabu fil-fwied. Fil-ġisem, in-nitroġenu żejjed ikun f'forma ta' ammonja, li ssir tossika meta din takkumula, speċjalment għall-moħħ. Pheburane jintuża f'pazjenti li huma nieqsa minn enzima waħda jew iktar minn dawn li ġejjin: carbamylphosphate synthetase, ornithine transcarbamylase, jew argininosuccinate synthetase. Jista' jintuża f'pazjenti bit-tipi ta' mard li ġejj:

- marda li tkun 'harget kmieni' f'pazjenti li b'nuqqas għal kollox ta' enzima waħda jew aktar li jidhru fl-ewwel xahar ta' ħajja;
- marda li 'toħroġ aktar tard' f'pazjenti b'nuqqasijiet parzjali f'enzima waħda jew aktar li jidhru wara l-ewwel xahar ta' ħajja u li għandhom livelli għolja ta' ammonja fid-demm li affettwaw l-attività tal-moħħ.

Pheburane huwa 'medicina ibrida'. Dan ifisser li huwa simili għal 'medicina ta' referenza' li fiha l-istess sustanza attiva, iżda l-granuli ta' Pheburane jiġu b'doża aktar baxxa u fihom eċċipjenti differenti (sustanzi inattivi) biex jaħbu t-togħma ħażina tas-sustanza attiva. Il-medicina ta' referenza għal Pheburane hija Ammonaps.



Kif jintuża Pheburane?

Pheburane jiġi bħala granuli (483 mg/g). Il-medicina tista' tinkiseb biss b'ricetta ta' tabib u l-kura għandha tiġi ssorveljata minn tabib li għandu l-esperjenza fil-kura ta' pazjenti b'disturbi fiċ-ċiklu tal-urea.

Pheburane jittieħed ma' dieta speċjali li għandha livell baxx ta' proteini biex titnaqqas id-doża tan-nitroġenu. Id-doża ta' kuljum ta' Pheburane għandha tkun maħduma b'mod individwali għal kull pazjent u tiddependi mid-dieta, it-tul u l-piż tal-pazjent. Huma meħtieġa testijiet tad-demem b'mod regolari biex tinstab id-doża korretta ta' kuljum.

Id-doża ta' kuljum ta' Pheburane għandha tinqasam f'ammonti indaqs u tingħata ma' kull ikla. Il-granuli jistgħu jitferrxu fuq l-ikel immedjatament qabel ma jinbelgħu jew jitpoġġew fil-ħalq u jinbelgħu direttament ma' xarba.

Pheburane jista' jkun trattament tul il-ħajja sakemm il-pazjent ma jagħmilx trapjant tal-fwied li jirnexxi.

Kif jaħdem Pheburane?

L-ikel tal-proteini jġib in-nitroġenu fil-ġisem, li mbagħad jinbidel f'ammonia. Pazjenti b'disturbi fiċ-ċiklu tal-urea ma jkunux jistgħu jneħħu l-ammonia mill-ġisem u għalhekk din tista' tilhaq livelli għoljin li jwasslu għal problemi serji inklużi diżabilità, ħsara fil-moħħ u mewt. Is-sustanza attiva f'Pheburane, is-sodium phenylbutyrate, tinbidel f'sustanza li tissejjaħ phenylacetate fil-ġisem. Phenylacetate tingħaqad mal-aċidu amminiku glutamina, li fiħ in-nitroġenu, biex jiffurmaw sustanza li tista' titneħħa mill-ġisem permezz tal-kliewi. Dan jippermetti l-livelli tan-nitroġenu fil-ġisem biex jitnaqqsu billi jnaqqas l-ammont ta' ommonia li jkun qed jipproduċi ruħu.

Kif ġie studjat Pheburane?

L-istudji fil-pazjenti kienu limitati għal testijiet sabiex jiġi determinat li Pheburane huwa bijoekwivalenti għall-medicina ta' referenza, Ammonaps. Żewġ mediċini jkunu bijoekwivalenti meta jipproduċu l-istess livelli tas-sustanza attiva fil-ġisem.

X'inhuma l-benefiċċji u r-riskji ta' Pheburane?

Minħabba li Pheburane huwa medicina ibrida u huwa bijoekwivalenti għall-medicina ta' referenza, il-benefiċċji u r-riskji tiegħu jitqiesu l-istess bħal dawk tal-medicina ta' referenza.

Għal xiex ġie approvat Pheburane?

Il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (is-CHMP) tal-Aġenzija kkonkluda li Pheburane wera li għandu kwalità komparabbli u li huwa bijoekwivalenti għal Ammonaps. Għaldaqstant is-CHMP kien tal-fehma li, bħal fil-każ ta' Ammonaps, il-benefiċċji huma akbar mir-riskji identifikati. Il-Kumitat irrakkomanda li Pheburane ikun approvat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jitteħdu biex jassiguraw użu sigur u effettiv ta' Pheburane?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u l-fuljett ta' tagħrif giet inkluża informazzjoni rigward is-sigurtà ta' Pheburane, fosthom il-prekawzjonijiet xierqa li jridu jkunu segwiti mill-professjonisti fil-kura tas-saħħa u l-pazjenti.

Tagħrif ieħor fuq Pheburane

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha għal Pheburane fit-31 ta' Lulju 2013.

L-EPAR sñiħ għal Pheburane jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Pheburane, aqra l-fuljett ta' tagħrif (huwa parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispizjar tiegħek.

Dan is-sommarju gie agġornat l-aħħar f'08-2013.