



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/002500

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Pheburane

fenylomaślan sodu

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Pheburane. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Pheburane.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Pheburane należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest lek Pheburane i w jakim celu się go stosuje?

Pheburane jest lekiem zawierającym substancję czynną fenylomaślan sodu. Lek stosuje się w leczeniu pacjentów z zaburzeniami cyklu moczniowego. Pacjenci z tej grupy nie są w stanie pozbyć się z organizmu odpadów azotowych, ponieważ występuje u nich niedobór enzymów znajdujących się zwykle w wątrobie. W organizmie, odpady azotowe występują w formie amoniaku, który jest toksyczny w przypadku nagromadzenia, szczególnie dla mózgu. Lek Pheburane stosuje się u pacjentów z niedoborem jednego z następujących enzymów: syntetaza karbamylfosforanowa, transkARBAMYLaza ornitynowa lub syntetaza argininobursztynianu. Lek stosuje się u pacjentów z następującymi postaciami choroby:

- „wczesna” choroba u pacjentów, które wykazują całkowity brak jednego lub większej ilości ww. enzymów w ciągu pierwszego miesiąca życia;
- „późna” choroba u pacjentów, u których po ukończeniu pierwszego miesiąca życia występuje częściowy niedobór jednego lub więcej enzymów i u których występuje wysoki poziom amoniaku we krwi, który doprowadził do uszkodzenia mózgu.

Produkt Pheburane jest lekiem hybrydowym. Oznacza to, że lek jest podobny do leku referencyjnego zawierającego taką samą substancję czynną, ale granulki leku Pheburane są dostępne w zmniejszonej mocy i zawierają różne substancje pomocnicze (składniki nieaktywne) w celu ukrycia nieprzyjemnego smaku substancji czynnej. Lekiem referencyjnym dla produktu Pheburane jest Ammonaps.



Jak stosować lek Pheburane?

Lek Pheburane jest dostępny w postaci granulek (483 mg/g). Lek Pheburane jest dostępny wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinien nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów z zaburzeniami cyklu mocznikowego.

Lek Pheburane stosuje się wraz ze specjalną niskobiałkową dietą w celu zmniejszenia wchłaniania azotu. Dawkę dobową leku Pheburane ustala się osobno dla każdego pacjenta w zależności od jego diety, wzrostu i masy ciała. W celu ustalenia właściwej dawki dobowej występuje konieczność regularnego badania krwi.

Dobową dawkę leku Pheburane należy podzielić na jednakowe części podawane z każdym posiłkiem. Przed ich połyknięciem lub umieszczeniem w jamie ustnej granule można nimi posypać jedzenie i natychmiast popić napojem.

Leczenie produktem Pheburane może być trwać całe życie, o ile u pacjenta nie dojdzie do udanego przeszczepu wątroby.

Jak działa lek Pheburane?

Spożywanie białek sprawia, że do organizmu dostaje się azot, który jest następnie przekształcany w amoniak. Pacjenci z zaburzeniami cyklu mocznikowego nie są w stanie pozbyć się amoniaku z organizmu, co prowadzi do jego wysokiego poziomu i poważnych następstw, w tym niepełnosprawności, uszkodzeń mózgu i śmierci. Substancja czynna leku Pheburane, fenylomaślan sodu, jest przekształcana w organizmie w substancję o nazwie octan fenylu. Octan fenylu łączy się z aminokwasem glutaminy, zawierającym azot, i tworzy substancję, która może zostać wydalona z organizmu przez nerki. Obniżenie ilości wytwarzanego amoniaku pomaga w zmniejszeniu poziomu azotu w organizmie.

Jak badano lek Pheburane?

Badania ograniczono do testów mających określić, czy lek jest biorównoważny w stosunku do leku referencyjnego o nazwie Ammonaps. Dwa leki są biorównoważne, gdy doprowadzają do wystąpienia jednakowego stężenia substancji czynnej w organizmie.

Jakie są korzyści i zagrożenia związane ze stosowaniem leku Pheburane?

Ponieważ lek Pheburane jest lekiem hybrydowym, biorównoważnym w stosunku do leku referencyjnego, uznaje się, że z jego stosowaniem wiążą się takie same korzyści i zagrożenia, jak w przypadku leku referencyjnego.

Na jakiej podstawie zatwierdza się lek Pheburane?

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) uznał, że lek Pheburane charakteryzuje się porównywalną jakością i jest biorównoważny w stosunku do leku Ammonaps. Dlatego też CHMP wyraził opinię, że – podobnie jak w przypadku leku Ammonaps – korzyści przewyższają rozpoznane ryzyko. Komitet zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie produktu Pheburane do stosowania w Unii Europejskiej.

Jakie środki przedsięwzięto w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Pheburane?

W charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta dotyczącej leku Pheburane zawarto informacje dotyczące bezpieczeństwa, w tym odpowiednie środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Pheburane:

W dniu 31 lipca 2013 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie leku Pheburane do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące leku Pheburane znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Pheburane należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 08-2013 r.