



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/002500

Resumo do EPAR destinado ao público

Pheburane

fenilbutirato de sódio

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Pheburane. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Pheburane.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Pheburane, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

O que é o Pheburane e para que é utilizado?

O Pheburane é um medicamento que contém a substância ativa fenilbutirato de sódio. É utilizado no tratamento de doentes com doenças do ciclo da ureia. Estes doentes não são capazes de excretar (eliminar) os resíduos de azoto que se acumulam no organismo por terem deficiência de determinadas enzimas presentes no fígado. No organismo, os resíduos de azoto assumem a forma de amónia, que é especialmente tóxica para o cérebro. O Pheburane é utilizado em doentes com deficiência de uma ou mais do que uma das seguintes enzimas: sintetase do carbamilfosfato, transcarbamilase da ornitina ou sintetase do argininosuccinato. Pode ser utilizado em doentes com as seguintes formas da doença:

- doença de apresentação de início neonatal em bebés que apresentam deficiência enzimática total de uma ou mais do que uma destas enzimas no primeiro mês de vida;
- doença de início tardio em doentes que apresentam deficiência enzimática parcial de uma ou mais do que uma destas enzimas manifestada após o primeiro mês de vida, bem como níveis elevados de amónia no sangue que afetam a atividade cerebral.

O Pheburane é um medicamento híbrido. Isso significa que é similar a um medicamento de referência que contém a mesma substância ativa, diferindo desse medicamento no facto de estar disponível numa dosagem mais forte e conter excipientes (substâncias inativas) diferentes para disfarçar o sabor desagradável da substância ativa. O medicamento de referência do Pheburane é o Ammonaps.



Como se utiliza o Pheburane?

O Pheburane está disponível sob a forma de granulado (483 mg/g). Só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser supervisionado por um médico com experiência no tratamento de doentes com doenças do ciclo da ureia.

O Pheburane é utilizado em associação com uma dieta pobre em proteínas para reduzir a ingestão de azoto. A dose diária de Pheburane é ajustada individualmente a cada doente de acordo com a dieta, a altura e o peso do doente. É necessário fazer regularmente análises de sangue aos doentes para determinar a dose diária correta.

A dose diária de Pheburane deve ser dividida em partes iguais e administrada com cada refeição. O granulado pode ser deitado num alimento sólido imediatamente antes de ser engolido ou colocado na boca e ser imediatamente engolido com uma bebida.

O tratamento com Pheburane pode ser necessário para toda a vida exceto se o doente for sujeito com sucesso a um transplante de fígado.

Como funciona o Pheburane?

A ingestão de proteínas fornece ao organismo azoto que é depois transformado em amónia. Os doentes que sofrem de doenças do ciclo da ureia não eliminam a amónia (os resíduos de azoto) do organismo, pelo que esta pode atingir níveis muito elevados, causando problemas graves como incapacidade, danos cerebrais e morte. A substância ativa do Pheburane, o fenilbutirato de sódio, é transformada pelo organismo numa substância chamada fenilacetato. O fenilacetato conjuga-se com a glutamina, um aminoácido que contém azoto, para formar uma substância que pode ser eliminada pelo organismo através dos rins. Isto permite baixar os níveis de azoto no organismo, reduzindo a quantidade de amónia produzida.

Como foi estudado o Pheburane?

Os estudos efetuados em doentes limitaram-se a testes para demonstrar que o Pheburane é bioequivalente ao medicamento de referência, o Ammonaps. Dois medicamentos são bioequivalentes quando produzem os mesmos níveis da substância ativa no organismo.

Quais os benefícios e os riscos do Pheburane?

Uma vez que o Pheburane é um medicamento híbrido bioequivalente ao medicamento de referência, os seus benefícios e riscos são idênticos aos do medicamento de referência.

Por que foi aprovado o Pheburane?

O Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) concluiu que, em conformidade com o exigido pela legislação comunitária, o Pheburane demonstrou ter uma qualidade comparável e ser bioequivalente ao Ammonaps. Por conseguinte, o CHMP considerou que, à semelhança do Ammonaps, os benefícios do medicamento são superiores aos riscos identificados. O Comité recomendou a aprovação do Pheburane para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Pheburane?

Foram incluídas informações de segurança no Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo do Pheburane, incluindo as precauções apropriadas a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes.

Outras informações sobre o Pheburane

Em 28 de abril/maio de 2013, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Pheburane.

O EPAR completo sobre o Pheburane pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mais informações sobre o tratamento com o Pheburane, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Este resumo foi atualizado pela última vez em abril/maio de e 2013.