



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/002500

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Pheburane

nátriumfenylbutyrát

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Pheburane. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho užívania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Pheburane.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Pheburane, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľov alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je liek Pheburane a na čo sa používa?

Pheburane je liek, ktorý obsahuje účinnú látku nátriumfenylbutyrát. Používa sa na liečbu pacientov s poruchami močovinového cyklu. Títo pacienti sa nedokážu zbaviť dusíkatého odpadu v tele, pretože majú nedostatok niektorých enzýmov, ktoré sa zvyčajne nachádzajú v pečeni. Dusíkatý odpad sa v tele nachádza vo forme amoniaku, ktorý je v prípade nahromadenia toxický, a to najmä pre mozog. Liek Pheburane sa používa u pacientov, ktorým chýba jeden alebo viaceré z týchto enzýmov: karbamylfosfátsyntetáza, ornitíntranskarbamyλάza alebo arginínosukcinátsyntetáza. Môže sa použiť u pacientov s týmito formami ochorenia:

- u pacientov s nástupom ochorenia v ranom veku, ktorí majú úplný nedostatok jedného alebo viacerých z týchto enzýmov počas prvého mesiaca života,
- u pacientov s nástupom ochorenia v neskoršom veku, u ktorých sa prejavuje čiastočný nedostatok jedného alebo viacerých z týchto enzýmov po dosiahnutí veku jedného mesiaca a u ktorých sa vyskytovali vysoké hladiny amoniaku ovplyvňujúce činnosť mozgu.

Liek Pheburane je tzv. hybridný liek. To znamená, že je podobný referenčnému lieku obsahujúcemu rovnakú účinnú látku, ale granulát lieku Pheburane je dostupný v nižšej sile a obsahuje odlišné pomocné látky (neaktívne zložky), aby zamaskoval nepríjemnú chuť účinnej látky. Referenčným liekom pre liek Pheburane je liek Ammonaps.



Ako sa liek Pheburane používa?

Liek je dostupný vo forme granulátu (483 mg/g). Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a na liečbu má dozerať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s poruchami močovinového cyklu.

Liek Pheburane sa používa spolu so špeciálnou diétou s nízkym obsahom bielkovín na zníženie prijímaného množstva dusíka. Denná dávka lieku Pheburane sa upraví individuálne pre každého pacienta a závisí od stravy, výšky a váhy pacienta. Na zistenie správnej dennej dávky sú potrebné pravidelné krvné testy.

Dávka lieku Pheburane sa má rozdeliť na rovnaké množstvá a podávať s každým jedlom. Granulát možno nasypať do jedla bezprostredne pred prehltnutím alebo vložiť do úst a hneď prehltnúť s nápojom.

Je možné, že liek Pheburane sa bude užívať počas celého života, ak pacient nepodstúpi úspešnú transplantáciu pečene.

Akým spôsobom liek Pheburane účinkuje?

Prijímaním bielkovín sa do tela dostáva dusík, ktorý sa následne mení na amoniak. Pacienti s poruchami močovinového cyklu nedokážu z tela vylúčiť amoniak, takže môže dosiahnuť vysokú hladinu, čo vedie k vážnym problémom vrátane zdravotného postihnutia, poškodenia mozgu a smrti. Účinná látka lieku Pheburane, natriumfenylbutyrát, sa v tele premieňa na látku nazývanú fenylacetát. Fenyacetát sa zlučuje s aminokyselinou glutamínom, ktorá obsahuje dusík, a vytvára látku, ktorú z tela dokážu odstrániť obličky. Následne dochádza k zníženiu množstva dusíka v tele, čím sa znižuje množstvo produkovaného amoniaku.

Ako bol liek Pheburane skúmaný?

Štúdie u pacientov sa obmedzili na testy s cieľom preukázať biologickú rovnocennosť lieku Pheburane s referenčným liekom Ammonaps. Dva lieky sú biologicky rovnocenné, keď v tele produkujú rovnaké hladiny účinnej látky.

Aké sú prínosy a riziká spájané s liekom Pheburane?

Keďže liek Pheburane je hybridný liek a je biologicky rovnocenný s referenčným liekom, jeho prínosy a riziká sa považujú za rovnaké ako v prípade referenčného lieku.

Prečo bol liek Pheburane povolený?

Výbor agentúry pre lieky na humánne použitie (CHMP) dospel k záveru, že v prípade lieku Pheburane sa preukázala porovnateľná kvalita a biologická rovnocennosť s liekom Ammonaps. Výbor CHMP preto usúdil, že tak, ako v prípade lieku Ammonaps, jeho prínosy sú väčšie než identifikované riziká. Výbor odporučil povolenie lieku Pheburane na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Pheburane?

Do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľov boli zahrnuté informácie o bezpečnosti o lieku Pheburane vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Ďalšie informácie o lieku Pheburane

Dňa 31. júla 2013 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Pheburane na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Pheburane sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Pheburane, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľov (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 08-2013