



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/002500

## Povzetek EPAR za javnost

---

# Pheburane

## natrijev fenilbutirat

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Pheburane. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Pheburane naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

### Kaj je zdravilo Pheburane in za kaj se uporablja?

Pheburane je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino natrijev fenilbutirat. Uporablja se za zdravljenje bolnikov z motnjami v ciklusu sečnine. Tem bolnikom primanjkuje nekaterih encimov, ki so navadno v jetrih, in zato iz telesa ne morejo izločiti odpadnega dušika. Odpadni dušik se v telesu nahaja v obliki amonijaka, ki je, če se kopiči, še zlasti strupen za možgane. Zdravilo Pheburane se uporablja pri bolnikih, ki jim primanjkuje enega ali več naslednjih encimov: karbamil-fosfat-sintetaze, ornitin-transkarbamilaze ali argininosukcinat-sintetaze. Uporablja se lahko pri bolnikih z naslednjimi oblikami bolezni:

- pri zgodnji bolezni pri bolnikih, ki izkazujejo popolno pomanjkanje enega ali več teh encimov v prvem mesecu življenja;
- pri bolezni z zakasnelim pojavom pri bolnikih, ki izkazujejo delno pomanjkanje enega ali več teh encimov po prvem mesecu življenja in so imeli visoke ravni amonijaka v krvi, ki so vplivale na delovanje možganov.

Zdravilo Pheburane je „hibridno zdravilo“. To pomeni, da je podobno referenčnemu zdravilu, ki vsebuje enako zdravilno učinkovino, vendar so zrnca zdravila Pheburane na voljo v nižji jakosti in vsebujejo drugačne pomožne snovi (nedejavne sestavine), da prekrijejo neprijeten okus zdravilne učinkovine.

Referenčno zdravilo za zdravilo Pheburane je zdravilo Ammonaps.



## **Kako se zdravilo Pheburane uporablja?**

Zdravilo Pheburane je na voljo v obliki zrnca (483 mg/g). Izdaja zdravila je le na recept, zdravljenje pa mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z motnjami ciklusa sečnine.

Zdravilo Pheburane se uporablja s posebno dieto z malo beljakovinami za zmanjšanje vnosa dušika. Dnevni odmerek zdravila Pheburane je prilagojen za vsakega bolnika posebej in je odvisen od bolnikove prehrane, višine in telesne mase. Da se določi pravilni dnevni odmerek, so potrebne redne preiskave krvi.

Dnevni odmerek zdravila Pheburane je treba razdeliti na enake dele in jih vzeti skupaj z obrokom. Zrnca se lahko tik pred zaužitjem nasuje na hrano ali da v usta in takoj pogoltne s tekočino.

Zdravljenje z zdravilom Pheburane je lahko potrebno celo življenje, če bolniku niso uspešno presajena jetra.

## **Kako zdravilo Pheburane deluje?**

Z uživanjem beljakovin se v telo vnese dušik, ki se nato pretvori v amonijak. Bolniki z motnjami ciklusa sečnine ne morejo izločiti amonijaka iz telesa, kar pomeni, da lahko ta doseže zelo visoke ravni, ki lahko povzročijo resne težave, vključno z invalidnostjo, poškodbo možganov in smrtjo. Zdravilna učinkovina zdravila Pheburane, natrijev fenilbutirat, se v telesu pretvori v snov, imenovano fenilacetat. Fenilacetat se veže z aminokislino glutamin, ki vsebuje dušik, in tvori snov, ki jo lahko ledvice izločijo iz telesa. Tako se ravni dušika v telesu znižajo, količina proizvedenega amonijaka pa se zmanjša.

## **Kako je bilo zdravilo Pheburane raziskano?**

Študije na bolnikih so bile omejene na preskuse, s katerimi se dokazuje, da je zdravilo biološko enakovredno referenčnemu zdravilu Ammonaps. Dve zdravili sta biološko enakovredni, kadar dosejata enake ravni zdravilne učinkovine v telesu.

## **Kakšne so koristi in tveganja, povezani z zdravilom Pheburane?**

Ker je zdravilo Pheburane hibridno zdravilo in je biološko enakovredno referenčnemu zdravilu, so njegove koristi in tveganja enaki kot pri referenčnem zdravilu.

## **Zakaj je bilo zdravilo Pheburane odobreno?**

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), ki deluje pri agenciji, je zaključil, da ima zdravilo Pheburane primerljivo raven kakovosti kot zdravilo Ammonaps ter da mu je biološko enakovredno. Zato je menil, da njegove koristi, tako kot pri zdravilu Ammonaps, odtehtajo znana tveganja. Priporočil je, da se zdravilo Pheburane odobri za uporabo v EU.

## **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Pheburane?**

V povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo za zdravilo Pheburane so bile vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

## **Druge informacije o zdravilu Pheburane**

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Pheburane, veljavno po vsej Evropski uniji, odobrila dne 31. julija 2013.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Pheburane je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Pheburane preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 08-2013.