



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/002500

## Sammanfattning av EPAR för allmänheten

---

# Pheburane

## natriumfenylbutyrat

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Pheburane. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Pheburane ska användas.

Praktisk information om hur Pheburane ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

### Vad är Pheburane och vad används det för?

Pheburane är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen natriumfenylbutyrat. Det används för att behandla patienter med rubbningar i ureaomsättningen. Dessa patienter kan inte göra sig av med restkväve i kroppen eftersom de saknar vissa enzymer som vanligen finns i levern. I kroppen förekommer restkvävet i form av ammoniak, som är giftigt när det ansamlas, i synnerhet för hjärnan. Pheburane ges till patienter som saknar ett eller flera av enzymerna karbamylfosfatsyntetas, ornitintranskARBamylas och argininsuccinatsyntetas. Det kan ges till patienter med följande former av sjukdomen:

- Sjukdom med tidig debut hos patienter som har fullständig brist på ett eller flera av dessa enzymer inom den första levnadsmånaden.
- Sjukdom med sen debut hos patienter som har delvis brist på ett eller flera av dessa enzymer efter en månads ålder och har haft höga nivåer ammoniak i blodet som har påverkat hjärnaktiviteten.

Pheburane är ett s.k. hybridläkemedel, vilket innebär att det liknar ett referensläkemedel som innehåller samma aktiva substans. Pheburane-granulaten finns dock i en lägre styrka och innehåller olika hjälpämnen (inaktiva innehållsämnen) för att dölja den oönskade smaken av den aktiva substansen. Referensläkemedlet är Ammonaps.



## Hur används Pheburane?

Pheburane finns som granulat (483 mg/g). Läkemedlet är receptbelagt och behandling ska övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla patienter med rubbningar i ureaomsättningen.

Pheburane ges tillsammans med en särskild lågproteinkost för att minska kväveintaget. Den dagliga dosen Pheburane anpassas individuellt och beror på patientens kost, längd och vikt. Patienten måste genomgå regelbundna blodprovskontroller så att rätt daglig dosering kan fastställas.

Den dagliga dosen Pheburane ska delas upp på lika stora deldoser och tas vid varje måltid. Granulaten kan tillsättas maten omedelbart innan de sväljs eller läggas in i munnen och sväljas omedelbart med vätska.

Behandling med Pheburane kan bli livslång om inte patienten genomgår en framgångsrik levertransplantation.

## Hur verkar Pheburane?

När man äter protein får kroppen i sig kväve som sedan omvandlas till ammoniak. Eftersom patienter med rubbningar i ureaomsättningen inte kan göra sig av med ammoniaken i kroppen kan den nå höga nivåer. Detta kan orsaka allvarliga problem, bland annat invaliditet, hjärnskador och dödsfall. Den aktiva substansen i Pheburane, natriumfenylbutyrat, omvandlas till ämnet fenylacetat i kroppen. Fenylacetat förenas med aminosyran glutamin, som innehåller kväve, till ett ämne som kroppen kan göra sig av med genom njurarna. På så sätt sjunker kvävenivåerna i kroppen, vilket minskar mängden ammoniak som bildas.

## Hur har Pheburanes effekt undersökts?

Studierna har begränsats till tester som visar att det är bioekvivalent med referensläkemedlet Ammonaps. Två läkemedel är bioekvivalenta när de bildar samma halter av den aktiva substansen i kroppen.

## Vilka är fördelarna och riskerna med Pheburane?

Eftersom Pheburane är ett hybridläkemedel och bioekvivalent med referensläkemedlet anses dess fördelar och risker vara desamma som för referensläkemedlet.

## Varför godkänns Pheburane?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att det styrkts att Pheburane har likvärdig kvalitet och är bioekvivalent med Ammonaps. CHMP fann därför att nyttan är större än de konstaterade riskerna, liksom för Ammonaps. Kommittén rekommenderade att Pheburane skulle godkännas för användning i EU.

## Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Pheburane?

Säkerhetsinformation har tagits med i produktresumén och bipacksedeln för Pheburane. Där anges också lämpliga försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska vidta.

## Mer information om Pheburane

Den 31 juli 2013 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Pheburane som gäller i hela Europeiska unionen.

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Mer information om behandling med Pheburane finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Denna sammanfattning uppdaterades senast i 08- 2013.