

EMA/H/C/002500

Julkinen EPAR-yhteenveto

Pheburane

natriumfenyylibutyratti

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Pheburane-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan sitä koskevan myyntiluvan myöntämistä ja suosittamaan sen käyttöä koskevia ehtoja. Sen tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Pheburanen käytöstä.

Potilas saa Pheburanen käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Pheburane on ja mihin sitä käytetään?

Pheburane on lääke, jonka vaikuttava aine on natriumfenyylibutyratti. Sitä käytetään hoidettaessa potilaita, joilla ureakierron häiriö. Jännöstyppi ei poistu näiden potilaiden kehosta, koska heillä ei ole tiettyjä yleensä maksassa olevia entsyymejä. Kehossa jännöstyppi on ammoniakkin muodossa, joka on kertyneenä myrkyllistä, varsinkin aivokudoksille. Pheburanea käytetään potilailla, joilta puuttuu yksi tai useampia seuraavista entsyymeistä: karbamyylifosfaattisyntetaasi, ornitiinitranskarmylaasi tai arginiinimeripihkahapposyntetaasi. Lääkevalmistetta voidaan käyttää potilailla, joilla sairaus ilmenee seuraavissa muodoissa:

- varhain alkanut sairaus potilailla, joilla yksi tai useampi näistä entsyymeistä puuttuu kokonaan ensimmäisen elinkuukauden aikana
- myöhemmin alkanut sairaus potilailla, joilla yhtä tai useampaa näistä entsyymeistä ei ole riittävästi yhden kuukauden iästä lähtien ja joiden veressä on suuri ammoniakkipitoisuus, joka on vaikuttanut aivojen toimintaan.

Pheburane on ns. hybridilääke. Se tarkoittaa, että Pheburane on samanlainen kuin samaa vaikuttavaa ainetta sisältävä alkuperäislääke, mutta Pheburane-rakeiden vahvuus on pienempi ja ne sisältävät erilaisia apuaineita (joilla ei ole vaikutusta) vaikuttavan aineen epämiellyttävän maun peittämiseksi. Pheburanen alkuperäislääke on Ammonaps.

Miten Pheburanea käytetään?

Pheburanea on saatavissa rakeina (483 mg/g). Sitä saa vain lääkärin määräyksestä, ja hoitoa on valvottava lääkärin, jolla on kokemusta ureakierron häiriötä sairastavien potilaiden hoitamisesta.

Pheburanea käytetään yhdessä erityisen vähäproteiinisen ruokavalion kanssa typen saannin vähentämiseksi. Päivittäinen Pheburane-annos määrätään yksilökohtaisesti, ja se riippuu potilaan ruokavaliosta, pituudesta ja painosta. Oikean päivittäisen annoksen löytämiseksi tarvitaan säännöllisiä verikokeita.

Päivittäinen Pheburane-annos jaetaan yhtä suuriin osiin ja otetaan kunkin ruokailun yhteydessä. Rakeet voidaan sirottaa ruokaan juuri ennen syömistä tai ne voidaan laittaa suuhun ja niellä välittömästi juoman kanssa.

Pheburane-hoito saattaa olla elinikäinen, ellei potilaalle tehdä onnistunutta maksansiirtoa.

Miten Pheburane vaikuttaa?

Proteiinien syönti tuo kehoon typpeä, joka muuttuu ammoniakiksi. Potilailla, joilla on ureakierron häiriö, ammoniakki ei poistu kehosta, joten ammoniakkipitoisuus saattaa nousta korkeaksi. Tämä voi johtaa vakaviin ongelmiin, mukaan lukien toimintakyvyttömyys, aivovaurio tai kuolema. Pheburanen vaikuttava aine natriumfenyylibutyraatti muuttuu kehossa toiseksi aineeksi, fenyyliasetaatiksi. Fenyyliasetaatti yhdistyy typpeä sisältävän aminohapon glutamiinin kanssa ja muodostaa näin aineen, joka erittyy kehosta munuaisten kautta. Näin kehon typpipitoisuus alenee ja ammoniakin tuotanto vähenee.

Miten Pheburanea on tutkittu?

Potilailla tehdyt tutkimukset rajoittuvat kokeisiin sen osoittamiseksi, että Pheburane on biologisesti samanarvoinen alkuperäislääke Ammonapsiin nähden. Kaksi lääkettä ovat biologisesti samanarvoisia, kun ne tuottavat saman määrän vaikuttavaa ainetta elimistössä.

Mitkä ovat Pheburanen edut ja haitat?

Koska Pheburane on hybridilääke ja biologisesti samanarvoinen alkuperäislääkkeeseen nähden, sen etujen ja riskien katsotaan olevan samat kuin alkuperäislääkkeen.

Miksi Pheburane on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitean (CHMP) johtopäätöksenä oli, että Pheburane on osoittautunut laadullisesti vertailukelpoiseksi ja biologisesti samanarvoiseksi Ammonapsiin nähden. Näin ollen se katsoi, että Ammonapsin tapaan Pheburanen edut ovat havaittuja riskejä suuremmat. Komitea suositteli Pheburanen käytön hyväksymistä EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Pheburanen turvallinen ja tehokas käyttö?

Valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty Pheburanea koskevaa turvallisuustietoa, mukaan lukien terveydenhuollon ammattilaisille ja potilaille tarkoitetut asianmukaiset varotoimet.

Muita tietoja Pheburanesta

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Pheburanea varten 31. heinäkuuta 2013.

Pheburanea koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan EMAn verkkosivustolla ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lisätietoja Pheburane-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 08-2013.