



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/002500

Résumé EPAR à l'intention du public

Pheburane

phénylbutyrate de sodium

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Pheburane. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé l'a conduite à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Pheburane.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Pheburane, les patients sont invités à consulter la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

Qu'est-ce que Pheburane et dans quel cas est-il utilisé?

Pheburane est un médicament qui contient le principe actif phénylbutyrate de sodium. Il est utilisé pour traiter les patients atteints de désordres du cycle de l'urée. Ces patients ne parviennent pas à éliminer les déchets azotés de l'organisme car ils présentent un déficit en certaines enzymes que l'on trouve habituellement dans le foie. Dans l'organisme, les déchets azotés se trouvent sous forme d'ammoniaque, lequel est toxique lorsqu'il s'accumule, en particulier pour le cerveau. Pheburane est utilisé chez les patients présentant un déficit en une ou plusieurs des enzymes suivantes: carbamylphosphate synthétase, ornithine transcarbamylase ou argininosuccinate synthétase. Il peut être utilisé chez les patients présentant les formes de maladie suivantes:

- la forme à «révélation néonatale» de la maladie chez les patients présentant un déficit complet en une ou plusieurs de ces enzymes se révélant dans le premier mois de vie;
- la forme à «révélation tardive» de la maladie chez les patients présentant un déficit partiel en une ou plusieurs de ces enzymes après l'âge d'un mois et ayant présenté un taux élevé d'ammoniaque dans le sang qui a affecté l'activité cérébrale.

Pheburane est un «médicament hybride». Cela signifie qu'il est similaire à un «médicament de référence» contenant le même principe actif, mais les granulés de Pheburane sont disponibles à une dose plus faible et contiennent des excipients (composants inactifs) différents pour masquer le goût désagréable du principe actif. Le médicament de référence de Pheburane est Ammonaps.



Comment Pheburane est-il utilisé?

Pheburane est disponible sous la forme de granulés (483 mg/g). Il n'est délivré que sur ordonnance; le traitement doit être supervisé par un médecin ayant l'expérience du traitement de patients atteints de désordres du cycle de l'urée.

Pheburane est utilisé en association avec un régime pauvre en protéine afin de réduire l'ingestion d'azote. La dose journalière de Pheburane est adaptée à chaque patient et dépend du régime, de la taille et du poids de ce dernier. Il est nécessaire de procéder à des examens sanguins réguliers afin de déterminer la dose quotidienne adéquate.

La dose journalière de Pheburane doit être répartie en quantités égales et administrée au cours de chaque repas. Les granulés peuvent être saupoudrés sur les aliments juste avant d'être avalés ou placés dans la bouche et avalés immédiatement avec une boisson.

Pheburane peut être un traitement à prendre tout au long de la vie, sauf si le patient a bénéficié d'une greffe de foie réussie.

Comment Pheburane agit-il?

La consommation de protéines apporte de l'azote dans l'organisme, qui se transforme ensuite en ammoniacque. Les patients atteints de désordres du cycle de l'urée ne parviennent pas à éliminer l'ammoniacque de leur organisme. L'ammoniacque peut donc atteindre des taux élevés, ce qui conduit à des problèmes graves, notamment un handicap, des lésions cérébrales et la mort. Le principe actif de Pheburane, le phénylbutyrate de sodium, est converti dans l'organisme en une substance appelée phénylacétate. La phénylacétate s'associe à l'acide aminé glutamine, qui contient de l'azote, pour former une substance qui peut être excrétée de l'organisme par les reins. Cela permet de diminuer les niveaux d'azote dans l'organisme et donc de réduire la quantité d'ammoniacque produite.

Quelles études ont été menées sur Pheburane?

Les études sur les patients ont été limitées à des essais visant à démontrer que Pheburane est bioéquivalent au médicament de référence, Ammonaps. Deux médicaments sont bioéquivalents lorsqu'ils produisent les mêmes niveaux de principe actif dans le corps.

Quels sont les bénéfices démontrés par Pheburane et quels sont les risques associés à son utilisation?

Étant donné que Pheburane est un médicament hybride et qu'il est bioéquivalent au médicament de référence, ses bénéfices et risques sont considérés comme étant les mêmes que ceux du médicament de référence.

Pourquoi Pheburane est-il approuvé?

Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a conclu qu'il a été démontré que Pheburane est de qualité comparable à celle d'Ammonaps et bioéquivalent à ce dernier. Dès lors, le CHMP a estimé que, comme pour Ammonaps, le bénéfice est supérieur au risque identifié. Le comité a recommandé que l'utilisation de Pheburane au sein de l'UE soit approuvée.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Pheburane?

Des informations de sécurité ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice de Pheburane, y compris les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients.

Autres informations relatives à Pheburane

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Pheburane, le 31 juillet 2013.

L'EPAR complet relatif à Pheburane est disponible sur le site web de l'Agence, sous:

ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Pour plus d'informations sur le traitement par Pheburane, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Dernière mise à jour du présent résumé: 08-2013.