

EMEA/H/C/002500

---

**Riassunto destinato al pubblico**

---

## Pheburane

### Fenilbutirrato sodico

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Pheburane. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Pheburane.

Per informazioni pratiche sull'uso di Pheburane i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

### Che cos'è e per che cosa si usa Pheburane?

Pheburane è un medicinale contenente il principio attivo fenilbutirrato sodico. Viene usato per trattare pazienti affetti da disturbi associati al ciclo dell'urea. Questi pazienti non sono in grado di eliminare i residui azotati dall'organismo perché a loro mancano alcuni enzimi normalmente reperibili nel fegato. Nell'organismo, i residui azotati si trovano sotto forma di ammoniaca che è tossica quando si accumula, specialmente per il cervello. Pheburane è usato nei pazienti a cui manca uno o più dei seguenti enzimi: carbamil fosfato sintetasi, ornitina transcarbamilasi o argininosuccinato sintetasi. Può essere usato nei pazienti con le seguenti forme di malattia:

- malattia a "insorgenza anticipata" nei pazienti che mostrano una completa mancanza di uno o più di questi enzimi entro i primi mesi di vita;
- malattia a insorgenza tardiva nei pazienti che mostrano una mancanza parziale di uno o più di questi enzimi dopo l'età di un mese e hanno avuto elevati livelli di ammoniaca che hanno condizionato l'attività del cervello.

Pheburane è un medicinale ibrido. Ciò significa che è simile a un "medicinale di riferimento" che contiene lo stesso principio attivo, ma i granelli di Pheburane sono disponibili a un dosaggio inferiore e contengono diversi eccipienti (ingredienti inattivi) per mascherare il sapore sgradevole del principio attivo. Il medicinale di riferimento per Pheburane è Ammonaps.



## **Come si usa Pheburane?**

Pheburane è disponibile in granuli (483 mg/g). Può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica; il trattamento dev'essere seguito da un medico esperto nel trattamento di pazienti affetti da disturbi del ciclo dell'urea.

Pheburane dev'essere abbinato a una dieta a basso contenuto di proteine per ridurre l'assunzione di nitrogeno. La dose giornaliera di Pheburane è adeguata singolarmente per ogni paziente e dipende dalla dieta, dall'altezza e dal peso del paziente. Analisi del sangue regolari sono necessarie per determinare l'esatta dose giornaliera.

La dose giornaliera di Pheburane dev'essere ripartita in quantità identiche ed essere somministrata con ogni pasto. I granuli possono essere cosparsi sugli alimenti immediatamente prima di essere inghiottiti o essere messi in bocca e ingeriti immediatamente con una bevanda.

Pheburane può essere un trattamento di lunga durata a meno che il paziente non abbia un trapianto di fegato coronato da successo.

## **Come agisce Pheburane?**

Ogni proteina porta nitrogeno al corpo; il nitrogeno viene poi trasformato in ammoniaca. I pazienti affetti da disturbi del ciclo dell'urea non possono eliminare l'ammoniaca dal corpo, pertanto può raggiungere elevati livelli, che possono causare gravi problemi, tra cui disabilità, lesioni cerebrali e la morte. Il principio attivo di Pheburane, fenilbutirrato sodico, nel corpo viene trasformato in una sostanza denominata fenilacetato. Il fenilacetato si combina con l'amminoacido glutamina, che contiene nitrogeno, per formare una sostanza che possa essere eliminata dal corpo mediante i reni. Ciò permette ai livelli di nitrogeno nel corpo di diminuire, riducendo il livello di ammoniaca prodotto.

## **Quali studi sono stati effettuati su Pheburane?**

Gli studi sui pazienti sono stati limitati a prove per stabilire che Pheburane sia bioequivalente al medicinale di riferimento denominato Ammonaps. Due medicinali sono bioequivalenti quando producono gli stessi livelli di principio attivo nell'organismo.

## **Quali sono i benefici e i rischi di Pheburane?**

Poiché Pheburane è un medicinale ibrido, bioequivalente al medicinale di riferimento, si considera che i benefici e i rischi siano gli stessi del medicinale di riferimento.

## **Perché Pheburane è approvato?**

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha concluso che Pheburane ha mostrato di possedere qualità comparabili e di essere bioequivalente ad Ammonaps. Pertanto, il CHMP ha ritenuto che, come nel caso di Ammonaps, i benefici siano superiori ai rischi individuati e ha raccomandato di approvare l'uso di Pheburane nell'UE.

## **Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Pheburane?**

Al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di Pheburane sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

## **Altre informazioni su Pheburane**

Il 31 luglio 2013 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Pheburane, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Pheburane consultare il sito web dell'Agenzia:  
[ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Pheburane, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 08-2013.