



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/002500

## Europos santrauka plačiajai visuomenei

---

# Pheburane

## natrio fenilbutiratas

Šis dokumentas yra Pheburane Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatyti jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Pheburane.

Praktinės informacijos apie Pheburane vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

### Kas yra Pheburane ir kam jis vartojamas?

Pheburane – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos natrio fenilbutirato. Jis skiriamas šlapalo ciklo sutrikimų turintiems pacientams gydyti. Šiems pacientams trūksta tam tikrų, paprastai kepenyse randamų, fermentų, todėl iš jų organizmo nepašalinamas azoto perteklius. Organizme perteklinis azotas kaupiasi amoniako pavidalu, o amoniakas yra nuodingas, ypač smegenims. Pheburane skiriamas pacientams, kuriems trūksta vieno ar daugiau šių fermentų: karbamilfosfato sintetazės, ornitino transkarbamilazės arba arginino sukcinato sintetazės. Juo galima gydyti:

- anksti pasireiškusių ligą – kai visiškas vieno ar daugiau minėtų fermentų trūkumas nustatomas pirmąjį gyvenimo mėnesį;
- vėliau pasireiškusių ligą – kai dalinis vieno ar daugiau minėtų fermentų trūkumas nustatomas po pirmojo gyvenimo mėnesio ir didelė amoniako koncentracija jau paveikė paciento smegenų veiklą.

Pheburane yra mišrusis vaistas. Tai reiškia, kad jis panašus į referencinį vaistą su ta pačia veikliąja medžiaga, bet Pheburane granulės gaminamos mažesnio stiprumo ir jų sudėtyje yra kitokių pagalbinių medžiagų (neveikliųjų elementų) nemaloniai veikliosios medžiagos skoniui paslėpti. Pheburane referencinis vaistas yra Ammonaps.



## **Kaip vartoti Pheburane?**

Gaminamos Pheburane granulės (483 mg/g). Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą ir gydymą turi prižiūrėti šlapalo ciklo sutrikimų turinčių pacientų gydymo patirties turintis gydytojas.

Vartojant Pheburane reikia laikytis mažo baltymų kiekio dietos siekiant sumažinti suvartojamo azoto kiekį. Pheburane paros dozė kiekvienam pacientui nustatoma individualiai ir priklauso nuo jo mitybos, ūgio ir svorio. Tiksliai paros dozė nustatoma atliekant reguliarius kraujo tyrimus.

Pheburane dozė padalijama į lygias dalis, vartojamas kiekvieno valgio metu. Granulės galima užbarstyti ant maisto ir tuoj pat jį nuryti arba įsidėjus į burną tuoj pat nuryti užsigeriant.

Pheburane gali tekti vartoti visa gyvenimą, nebent pacientui būtų sėkmingai persodintos kepenys.

## **Kaip veikia Pheburane?**

Su maistu į organizmą patenka azotas, kuris vėliau virsta amoniaku. Šlapalo ciklo sutrikimą turinčio paciento organizmas nepašalina amoniako pertekliaus, todėl susidaro didelė jo koncentracija, galinti sukelti sunkių padarinių sveikatai, pavyzdžiui, negalią, smegenų pažeidimą arba mirtį. Pheburane veikloji medžiaga natrio fenilbutiratas organizme virsta kita medžiaga – fenilacetatu. Fenilacetatas jungiasi su amino rūgšties gliutaminu, kurio sudėtyje yra azoto, taip sudarydamas junginį, kuris iš organizmo pašalinamas per inkstus. Tai padeda sumažinti azoto, o kartu ir susidarančio amoniako, kiekį organizme.

## **Kaip buvo tiriamas Pheburane?**

Atlikti tik tyrimai Pheburane biologiniam ekvivalentiškumui referenciniam vaistui Ammonaps nustatyti. Du vaistai yra biologiškai ekvivalentiški, kai jie organizme išskiria tiek pat veikliosios medžiagos.

## **Kokia yra Pheburane nauda ir rizika?**

Kadangi Pheburane yra mišrusis vaistas ir biologiškai ekvivalentiškas referenciniam vaistui, manoma, kad jo nauda ir rizika yra tokia pat kaip ir referencinio vaisto.

## **Kodėl Pheburane buvo patvirtintas?**

Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) nusprendė, kad Pheburane yra panašios kokybės kaip Ammonaps ir yra jam biologiškai ekvivalentiškas. Todėl CHMP laikėsi nuomonės, kad, kaip ir Ammonaps, šio vaisto teikiama nauda yra didesnė už nustatytą riziką. Komitetas rekomendavo suteikti Pheburane rinkodaros leidimą ES.

## **Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Pheburane vartojimą?**

Į Pheburane preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtraukta informacija apie vaisto saugumą, taip pat nurodytos atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

## **Kita informacija apie Pheburane**

Europos Komisija 2013 m. liepos 31 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Pheburane rinkodaros leidimą.

Išsamų Pheburane EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Daugiau informacijos apie gydymą Pheburane rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2013-08.