

EMA/H/C/002500

EPAR-samenvatting voor het publiek

Pheburane

natriumfenylbutyraat

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Pheburane. Het geeft uitleg over hoe het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Pheburane.

Voor praktische informatie over het gebruik van Pheburane dienen patiënten de bijsluiter te lezen of contact op te nemen met hun arts of apotheker.

Wat is Pheburane en wanneer wordt het voorgeschreven?

Pheburane is een geneesmiddel dat de werkzame stof natriumfenylbutyraat bevat. Pheburane wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten met ureumcyclusstoornissen. Deze patiënten zijn door een tekort aan bepaalde enzymen die gewoonlijk in de lever voorkomen niet in staat om stikstofafval uit te scheiden. Stikstofafval hoopt zich in de vorm van ammoniak in het lichaam op en is dan met name giftig voor de hersenen. Pheburane wordt gebruikt voor patiënten die een tekort hebben aan een of meer van de volgende enzymen: carbamylfosfaatsynthetase, ornithinetranscarbamylase of argininosuccinaatsynthetase. Het kan worden voorgeschreven aan patiënten met de volgende vormen van de ziekte:

- 'vroeg-verworven' vorm van de ziekte bij patiënten bij wie een of meer van deze enzymen volledig ontbreken, wat zich binnen de eerste levensmaand manifesteert;
- 'laat-verworven' vorm van de ziekte bij patiënten bij wie na de eerste levensmaand een gedeeltelijk enzymtekort optreedt en die hersenschade hebben opgelopen door hoge ammoniakgehalten in het bloed.

Pheburane is een 'hybride geneesmiddel'. Dit betekent dat het vergelijkbaar is met een 'referentiegeneesmiddel' dat dezelfde werkzame stof bevat, maar Pheburane-granulaat is verkrijgbaar in een lagere sterkte en bevat andere vulstoffen (niet-werkzame ingrediënten) om de onaangename smaak van de werkzame stof te verhullen. Ammonaps is het referentiegeneesmiddel voor Pheburane.

Hoe wordt Pheburane gebruikt?

Pheburane is verkrijgbaar in de vorm van granulaat (483 mg/g). Het middel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling met Pheburane moet worden gecontroleerd door een arts met ervaring in de behandeling van patiënten met ureumcyclusstoornissen.

Pheburane wordt gebruikt met een speciaal dieet met weinig eiwitten om de inname van stikstof te verminderen. De dagelijkse dosis Pheburane wordt aan iedere individuele patiënt aangepast en is afhankelijk van het dieet, de lichaamslengte en het gewicht van de patiënt. Om de correcte dagelijkse dosis te bepalen zijn regelmatige bloedonderzoeken nodig.

De dagelijkse dosis Pheburane moet worden verdeeld in gelijke hoeveelheden en bij elke maaltijd worden ingenomen. Het granulaat kan onmiddellijk voor inname op het eten worden gestrooid of in de mond worden gedaan en direct met een vloeistof worden doorgeslikt.

Een behandeling met Pheburane kan een leven lang nodig zijn, tenzij de patiënt een succesvolle levertransplantatie heeft ondergaan.

Hoe werkt Pheburane?

Door eiwitten te eten komt er stikstof in het lichaam die vervolgens wordt omgezet in ammoniak. Patiënten met ureumcyclusstoornissen kunnen de ammoniak niet uit hun lichaam uitscheiden, zodat hoge concentraties bereikt kunnen worden die tot ernstige problemen als invaliditeit, hersenbeschadiging en overlijden kunnen leiden. De werkzame stof in Pheburane, natriumfenylbutyraat, wordt door het lichaam omgezet in de stof fenylacetaat. Fenylacetaat bindt zich met het aminozuur glutamine, dat stikstof bevat, en wordt een stof die door de nieren wordt uitgescheiden. Het stikstofniveau in het lichaam daalt en hierdoor kan de hoeveelheid ammoniak die wordt geproduceerd dalen.

Hoe is Pheburane onderzocht?

De patiëntenonderzoeken werden beperkt tot tests om vast te stellen dat Pheburane biologisch gelijkwaardig is aan het referentiegeneesmiddel Ammonaps. Twee geneesmiddelen zijn biologisch gelijkwaardig wanneer ze dezelfde concentraties van de werkzame stof in het lichaam produceren.

Welke voordelen en risico's heeft Pheburane?

Aangezien Pheburane een hybride geneesmiddel is en biologisch gelijkwaardig aan het referentiegeneesmiddel, worden de voordelen en risico's van het middel geacht dezelfde te zijn als die van het referentiegeneesmiddel.

Waarom is Pheburane goedgekeurd?

Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat is aangetoond dat Pheburane van vergelijkbare kwaliteit is als en biologisch gelijkwaardig is aan Ammonaps. Daarom was het CHMP van mening dat, net zoals voor Ammonaps, het voordeel groter was dan het vastgestelde risico. Het Comité heeft geadviseerd Pheburane voor gebruik in de EU goed te keuren.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Pheburane te waarborgen?

In de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter van Pheburane is veiligheidsinformatie opgenomen, onder andere over de gepaste voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen.

Overige informatie over Pheburane:

De Europese Commissie heeft op 31 juli 2013 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Pheburane verleend.

Het volledige EPAR voor Pheburane is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports. Zie de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Pheburane.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 08-2013.