

EMA/H/C/002500

## Rezumat EPAR destinat publicului

---

# Pheburane

## fenilbutirat de sodiu

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Pheburane. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Pheburane.

Pentru informații practice privind utilizarea Pheburane, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

## Ce este Pheburane și pentru ce se utilizează?

Pheburane este un medicament care conține substanța activă fenilbutirat de sodiu. Se utilizează pentru tratarea pacienților cu tulburări ale ciclului ureei. Acești pacienți nu pot elimina azotul rezidual din organism deoarece le lipsesc unele enzime care se găsesc, de obicei, în ficat. În organism, azotul rezidual se găsește sub formă de amoniac care, atunci când se acumulează, este toxic, în special pentru creier. Pheburane se utilizează la pacienții cărora le lipsesc una sau mai multe dintre următoarele enzime: carbamilfosfat-sintetază, ornitin-transcarbamilază sau argininosuccinat-sintetază. Pheburane poate fi administrat pacienților care prezintă următoarele forme ale bolii:

- boală cu „debut timpuriu” la pacienții care prezintă o lipsă totală a uneia sau mai multora dintre aceste enzime în cursul primei luni de viață;
- boală cu „debut întârziat” la pacienții care prezintă o lipsă parțială a uneia sau a mai multora dintre aceste enzime după vârsta de o lună și care au suferit leziuni cerebrale cauzate de concentrațiile ridicate de amoniac din sânge.

Pheburane este un „medicament generic hibrid”. Aceasta înseamnă că este similar unui „medicament de referință” care conține aceeași substanță activă, dar granulele de Pheburane sunt disponibile într-o concentrație mai mică și conțin diferiți excipienți (ingrediente inactive) pentru a masca gustul neplăcut al substanței active. Medicamentul de referință pentru Pheburane este Ammonaps.

## Cum se utilizează Pheburane?

Pheburane este disponibil sub formă de granule (483 mg/g). Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă, iar tratamentul trebuie supravegheat de un medic cu experiență în tratarea pacienților cu tulburări ale ciclului ureei.

Pheburane se utilizează cu un regim alimentar special sărac în proteine pentru a reduce absorbția de azot. Doza zilnică de Pheburane este ajustată pentru fiecare pacient în parte și depinde de regimul alimentar, înălțimea și greutatea pacientului. Sunt necesare analize de sânge periodice pentru determinarea dozei zilnice corecte.

Doza zilnică de Pheburane trebuie împărțită în cantități egale și administrată la fiecare masă. Granulele pot fi presărate pe alimente chiar înainte de a fi înghițite sau puse în gură și înghițite imediat cu un lichid.

Pheburane poate fi un tratament pentru tot restul vieții dacă pacientul nu are un transplant hepatic reușit.

## Cum acționează Pheburane?

Consumul de proteine aduce azot în organism, care este apoi transformat în amoniac. Pacienții cu tulburări ale ciclului ureei nu pot elimina amoniacul din organism, prin urmare acesta poate atinge concentrații mari, provocând probleme grave, și anume handicap, leziuni cerebrale și deces. Substanța activă din Pheburane, fenilbutiratul de sodiu, este convertită în organism într-o substanță numită fenilacetat. Fenilacetatul se combină cu aminoacidul glutamină, care conține azot, formând o substanță care poate fi eliminată din organism pe cale renală. Acest lucru permite scăderea concentrațiilor de azot din organism, reducând cantitatea de amoniac produsă.

## Cum a fost studiat Pheburane?

Studiile pe pacienți s-au limitat la teste destinate să stabilească că produsul este bioechivalent cu medicamentul de referință, Ammonaps. Două medicamente sunt considerate bioechivalente dacă produc în organism aceleași niveluri de substanță activă.

## Care sunt beneficiile și riscurile asociate cu Pheburane?

Având în vedere că Pheburane este un medicament generic hibrid și că este bioechivalent cu medicamentul de referință, beneficiile și riscurile asociate sunt considerate identice cu cele ale medicamentului de referință.

## De ce a fost aprobat Pheburane?

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a concluzionat că s-a demonstrat că Pheburane are o calitate comparabilă și este bioechivalent cu Ammonaps. Prin urmare, CHMP a considerat că, la fel ca în cazul Ammonaps, beneficiile sunt mai mari decât riscurile identificate. Comitetul a recomandat aprobarea utilizării Pheburane în UE.

## Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Pheburane?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru Pheburane, au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

## **Alte informații despre Pheburane**

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Pheburane, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 31 iulie 2013.

EPAR-ul complet pentru Pheburane este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Pheburane, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 08-2013.