



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/002500

Resumen del EPAR para el público general

Pheburane

fenilbutirato de sodio

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Pheburane. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable para su autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Pheburane.

Para más información sobre el tratamiento con Pheburane, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Qué es Pheburane y para qué se utiliza?

Pheburane es un medicamento que contiene el principio activo fenilbutirato de sodio. Pheburane se utiliza para tratar a pacientes con trastornos del ciclo de la urea, que no pueden eliminar los residuos de nitrógeno del organismo porque les faltan algunas enzimas que suelen encontrarse en el hígado. Los residuos de nitrógeno se presentan en el organismo en forma de amoníaco, una sustancia tóxica cuando se acumula, especialmente para el cerebro. Pheburane se utiliza en personas a las que les falta una o más de las siguientes enzimas: carbamilfosfato sintetasa, ornitina transcarbamilasa o argininosuccinato sintetasa. Puede usarse en pacientes que padecen las siguientes formas de la enfermedad:

- enfermedad de aparición precoz en lactantes que desde el primer mes de vida carecen de una o más de las enzimas mencionadas;
- Enfermedad de aparición tardía en lactantes que muestran carencia parcial de una o más de estas enzimas después del primer mes de vida y han tenido un elevado nivel de amoníaco en sangre que ha afectado a la actividad cerebral.

Pheburane es un 'medicamento híbrido', lo que significa que es similar a un 'medicamento de referencia' con el mismo principio activo, pero el granulado de Pheburane se presenta en una concentración más baja y contienen diferentes excipientes (ingredientes no activos) para tapar el desagradable sabor del principio activo. El medicamento de referencia de Pheburane es Ammonaps.

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu **Website** www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



¿Cómo se usa Pheburane?

Pheburane se presenta en la forma de granulado (483 mg/g). Sólo puede obtenerse con receta, y el tratamiento debe ser supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con trastornos del ciclo de la urea.

Pheburane se utiliza con una dieta especial baja en proteínas para reducir la ingesta de nitrógeno. La dosis diaria de Pheburane se ajusta individualmente en cada paciente en función de su dieta, altura y peso. Es necesario realizar análisis de sangre regulares para ver cuál es la dosis diaria correcta.

La dosis de Pheburane debe dividirse en cantidades iguales y administrarse con cada comida. El granulado puede rociarse sobre el alimento inmediatamente antes de tragarse o colocarse en la boca y tragarse inmediatamente con una bebida.

Pheburane puede ser un tratamiento de por vida, a menos que el paciente se someta a un trasplante de hígado con éxito.

¿Cómo actúa Pheburane ?

La ingesta de proteínas aporta al organismo nitrógeno, que una vez allí se transforma en amoníaco; las personas que padecen trastornos del ciclo de la urea no consiguen expulsar el amoníaco del organismo, con lo que este puede alcanzar altas concentraciones que provocan problemas graves, como discapacidad, daños cerebrales e incluso muerte. El principio activo de Pheburane , el fenilbutirato de sodio, se convierte en el organismo en una sustancia llamada fenilacetato que se combina con el aminoácido glutamina (que contiene nitrógeno) formando una sustancia que pueden eliminarse del organismo a través de los riñones. De este modo se reduce la concentración de nitrógeno en el organismo, y con ello la cantidad de amoníaco que se produce.

¿Qué tipo de estudios se han realizado con Pheburane ?

Los estudios realizados en pacientes se han limitado a pruebas para determinar que el medicamento es bioequivalente al producto de referencia Ammonaps. Dos medicamentos son bioequivalentes cuando producen la misma concentración del principio activo en el organismo.

¿Qué beneficio ha demostrado tener y cuál es el riesgo asociado a Pheburane ?

Como Pheburane es un medicamento genérico y es bioequivalente al medicamento de referencia, sus beneficios y riesgos son los mismos que los del medicamento de referencia.

¿Por qué se ha aprobado Pheburane ?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) concluyó que Pheburane ha demostrado tener una calidad comparable y ser bioequivalente a Ammonaps. Por tanto el CHMP consideró que, al igual que en el caso de Ammonaps, los beneficios son mayores que los riesgos identificados. El Comité recomendó que Pheburane se autorizase para su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro de Pheburane?

La información sobre seguridad se ha incluido en el Resumen de las Características del Producto y el prospecto de Pheburane , incluidas las precauciones pertinentes que deberán seguir los profesionales sanitarios y los pacientes.

Otras informaciones sobre Pheburane

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Pheburane el 31 de julio 2013.

El EPAR completo de Selincro se puede consultar en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para mayor información sobre el tratamiento con Pheburane, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 08- 2013.