



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/851451/2018
EMA/H/C/003822

Ravicti (*glycerol phenylbutyrate*)

Общ преглед на Ravicti и защо е разрешен за употреба в ЕС

Какво представлява Ravicti и за какво се използва?

Ravicti е лекарствен продукт, който се използва за лечение на нарушения в цикъла на уреята при възрастни и деца, когато заболяването не може да бъде овладяно само с промени в хранителния режим. Пациентите с нарушения в цикъла на уреята не са способни да изхвърлят отпадния азот, тъй като имат недостиг на някои чернодробни ензими. В организма отпадният азот се превръща в амоняк, който при натрупване става вреден. Ravicti се използва при пациенти, които имат недостиг на един или повече от следните ензими: карбамил фосфат синтетаза I, орнитин карбомиотрансфераза, аргининосукцинат синтетаза, аргининосукцинат лиаза, аргиназа I и орнитин транслоказа.

Ravicti съдържа активното вещество глицерол фенилбутират (*glycerol phenylbutyrate*).

Нарушенията на цикъла на уреята се считат за рядко заболяване и Ravicti е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) за някои форми на заболяването на 10 юни 2010 г. Допълнителна информация за „лекарствата сираци“ можете да намерите на уебсайта на Европейската агенция по лекарствата: ema.europa.eu/en/medicines/ema_group_types/ema_orphan.

Как се използва Ravicti?

Ravicti се предлага под формата на течност (1,1 g/ml) за прием през устата или се прилага чрез тръба, която минава през носа или през корема и стига до стомаха. Отпуска се по лекарско предписание и трябва да бъде предписан от лекар с опит в лечението на пациенти с нарушения на цикъла на уреята.

Тъй като протеините са източник на азот, Ravicti трябва да се прилага в комбинация със специална ниско протеинова диета и понякога с хранителни добавки (в зависимост от дневния прием на протеини, необходими за растежа и развитието).

Дозата Ravicti зависи от хранителния режим, височината и теглото на пациента. За регулиране на дозата е необходимо да се извършват редовни изследвания на кръвта. Общата дневна доза Ravicti трябва да бъде разделена на равни количества и да се приема по време на всяко хранене. Ravicti



може да се прилага като лечение през целия живот, освен ако пациентът не е преминал успешна чернодробна трансплантация.

За повече информация относно употребата на Ravicti вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Ravicti?

Активното вещество в Ravicti, глицерол фенилбутират, се преобразува в организма във вещество, наречено фенилацетат. Фенилацетатът се свързва с намиращата се в протеините аминокиселина глутамин и образува вещество, което бъбреците могат да изхвърлят от организма. Чрез изхвърляне на протеините се намаляват азотните нива в организма и, съответно, количеството на произвеждания амоняк.

Какви ползи от Ravicti са установени в проучванията?

Ravicti е сравнен с натриев фенилбутират (друго лекарство, използвано за лечение на нарушения в цикъла на уреята) в едно проучване, обхващащо 88 възрастни с нарушения в цикъла на уреята. Основната мярка за ефективност е промяната в нивото на амоняка в кръвта след 4 седмици на лечение. Проучването показва, че Ravicti е най-малкото също толкова ефективен, колкото лекарството, използвано за сравнение, за контролиране на нивото на амоняк в кръвта: очакваното средно ниво на амоняк е около 870 микромола на литър при пациенти, лекувани с Ravicti, в сравнение с около 980 микромола на литър при пациенти, лекувани с натриев фенилбутират. Данните от допълнителни проучвания показват подобен ефект при деца, лекувани с Ravicti от раждането им.

Какви са рисковете, свързани с Ravicti?

Най-честите нежелани реакции при Ravicti (които може да засегнат повече от 1 на 20 души) са диария, метеоризъм (газове), главоболие, намален апетит, повръщане, умора, гадене и необичайна миризма на кожата.

Ravicti не трябва да се използва за лечение на остра хиперамонемия (внезапно повишаване на нивата на амоняк в кръвта). За пълния списък на всички нежелани реакции и ограничения, съобщени при Ravicti, вижте листовката.

Защо Ravicti е разрешен за употреба в ЕС?

Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Ravicti са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Ravicti е ефективен за намаляване на нивото на амоняк в кръвта при пациенти с нарушения в цикъла на уреята. Ravicti е лекарство с удължено освобождаване, което означава, че активното вещество се освобождава постепенно в продължение на деня. Това води до по-добър контрол на нивата на амоняка в кръвта през целия ден. Поради това Ravicti не трябва да се използва за лечение на остра хиперамонемия, тъй като в тези случаи са необходими по-бързодействащи лекарства.

Освен това Агенцията счита, че тъй като Ravicti се предлага под формата на течност, лекарството може да е с по-приятен вкус, особено за деца, в сравнение с други лекарства под формата на гранули, които се добавят към храната. Течната форма улеснява също прилагането през тръба при пациенти, които не могат да преглъщат.

Нежеланите реакции при Ravicti засягат основно червата и се считат за овладяеми. Същевременно се очакват допълнителни данни за дългосрочната безопасност на Ravicti.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Ravicti?

Фирмата, която предлага Ravicti, ще създаде регистър на пациентите, за да събере допълнителна информация за дългосрочните ползи и безопасността на лекарството.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Ravicti, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Ravicti непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Ravicti, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Ravicti:

Ravicti получава разрешение за употреба, валидно в ЕС на 27 ноември 2015 г.

Допълнителна информация за Ravicti можете да намерите на уебсайта на Агенцията:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ravicti

Дата на последно актуализиране на текста 01-2019.