

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

Ravicti (*glyceroli phenylbutyras*)

Přehled pro přípravek Ravicti a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Ravicti a k čemu se používá?

Ravicti je léčivý přípravek používaný k léčbě poruch cyklu močoviny u dospělých a dětí, pokud tato onemocnění nelze kontrolovat samotnou úpravou stravy. Pacienti s poruchami cyklu močoviny nejsou schopni vylučovat z těla odpadní dusík, neboť jim chybí určité jaterní enzymy. Odpadní dusík se v těle přeměňuje na amoniak, který je při nahromadění v organismu škodlivý. Přípravek Ravicti se používá u pacientů, kterým chybí jeden či více těchto enzymů: karbamoylfosfát syntetáza-I, ornithin karbamoyltransferáza, argininosukcinát syntetáza, argininosukcinát lyáza, argináza I a ornithin translokáza.

Přípravek Ravicti obsahuje léčivou látku glycerol-fenylbutyrát.

Poruchy cyklu močoviny jsou vzácná onemocnění a přípravek Ravicti byl stanoven dne 10. června 2010 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ pro několik forem těchto onemocnění. Další informace o těchto vzácných onemocněních naleznete zde: ema.europa.eu/en/medicines/ema_group_types/ema_orphan.

Jak se přípravek Ravicti používá?

Přípravek Ravicti je dostupný ve formě tekutiny (1,1 g/ml) určené k perorálnímu (ústnímu) podání nebo k podání hadičkou (sondou), která prochází nosem do žaludku nebo břichem do žaludku. Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis, přičemž by jej měl předepisovat lékař, který má zkušenosti s léčbou pacientů s poruchami cyklu močoviny.

Vzhledem k tomu, že bílkoviny jsou zdrojem dusíku, je nutné při užívání přípravku Ravicti dodržovat speciální dietu s nízkým obsahem bílkovin a někdy užívat i potravinové doplňky (v závislosti na denním příjmu bílkovin potřebném pro růst a vývoj).

Dávkování přípravku Ravicti závisí na stravě a tělesné výšce a hmotnosti pacienta. K přizpůsobení dávky jsou nezbytné pravidelné krevní testy. Celková denní dávka přípravku Ravicti by měla být rozdělena na stejně velké dílčí dávky, které by měly být podávány spolu s každým jídlem. Přípravek Ravicti může být nutné užívat celoživotně, pokud pacient nepodstoupí úspěšnou transplantaci jater.

Více informací o používání přípravku Ravicti naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.



Jak přípravek Ravicti působí?

Léčivá látka v přípravku Ravicti, glycerol-fenylbutyrát, se v těle přeměňuje na látku nazývanou fenylacetát. Fenylacetát se váže na aminokyselinu glutamin přítomnou v bílkovinách, což vede k vytvoření látky, která může být ledvinami z těla vyloučena. Toto odstraňování bílkovin snižuje hladiny dusíku v těle a tím i množství vytvářeného amoniaku.

Jaké přínosy přípravku Ravicti byly prokázány v průběhu studií?

Přípravek Ravicti byl porovnán s natrium-fenylbutyrátem (dalším přípravkem k léčbě poruch cyklu močoviny) ve studii, do které bylo zařazeno 88 dospělých s poruchami cyklu močoviny. Hlavním měřítkem účinnosti byla změna hladiny amoniaku v krvi po 4 týdnech léčby. Studie prokázala, že přípravek Ravicti je v rámci kontroly hladiny amoniaku v krvi přinejmenším stejně účinný jako srovnávací přípravek: odhadovaná průměrná hladina amoniaku činila u pacientů léčených přípravkem Ravicti přibližně 870 mikromolů na litr oproti přibližně 980 mikromolům na litr u pacientů léčených natrium-fenylbutyrátem. Údaje z dalších studií prokázaly podobný účinek u dětí léčených přípravkem Ravicti od narození.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Ravicti?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Ravicti (které mohou postihnout více než 1 osobu z 20) jsou průjem, flatulence (plynatost), bolest hlavy, snížená chuť k jídlu, zvracení, únava, nevolnost a abnormální zápach kůže.

Přípravek Ravicti se nesmí používat k léčbě akutní hyperamonémie (náhlého vzestupu hladin amoniaku v krvi). Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Ravicti je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Ravicti registrován v EU?

Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Ravicti převyšují jeho rizika a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravek Ravicti je účinný při snižování hladiny amoniaku v krvi u pacientů s poruchami cyklu močoviny. Přípravek Ravicti je léčivý přípravek s prodlouženým uvolňováním, což znamená, že léčivá látka se uvolňuje v průběhu dne. To má za následek lepší kontrolu hladin amoniaku v krvi během celého dne. Z téhož důvodu nesmí být přípravek Ravicti používán k léčbě akutní hyperamonémie, neboť v takových případech jsou zapotřebí rychleji působící druhy léčby.

Agentura navíc usoudila, že vzhledem k tomu, že přípravek Ravicti je dostupný ve formě tekutiny, mohlo by to zejména pro děti zvýšit jeho chuťovou přijatelnost oproti ostatním léčivým přípravkům, které jsou k dispozici ve formě granulí přidávaných do stravy. Tekuté složení také usnadňuje podávání přípravku sondou pacientům, kteří nejsou schopni polykat.

Nežádoucí účinky přípravku Ravicti postihují zejména střeva a jsou považovány za zvládnutelné. Očekává se však předložení dalších údajů o dlouhodobé bezpečnosti přípravku Ravicti.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Ravicti?

Společnost, která přípravek Ravicti dodává na trh, zřídí registr pacientů, aby bylo možno získat další informace o dlouhodobých přínosech a bezpečnosti přípravku.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Ravicti, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Ravicti průběžně sledovány. Nežádoucí účinky nahlášené v souvislosti s přípravkem Ravicti jsou pečlivě hodnoceny a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Ravicti

Přípravek Ravicti obdržel rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne 27. listopadu 2015.

Další informace k přípravku Ravicti jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ravicti

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 01-2019.