

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

Ravicti (glütseroolfenüülbutüraat)

Ülevaade ravimist Ravicti ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Ravicti ja milleks seda kasutatakse?

Ravicti on ravim, mida kasutatakse ureatsükli häirete raviks täiskasvanutel ja lastel, kui haigust ei saa ravida ainult toitumist muutes. Ureatsükli häiretega patsientide organismis puuduvad teatud maksaensüümid, mille tõttu ei eritu organismist jääklämmastik. Jääklämmastik muundub organismis ammoniaagiks, mis on akumulatsioonil kahjulik. Ravictit kasutatakse patsientidel, kellel puudub vähemalt üks järgmistest ensüümidest: karbamoüülfosfaadi süntetaas-1, ornitiini karbamoüültransferaas, argininosuktsinaadi süntetaas, argininosuktsinaadi lüaas, arginaas I ja ornitiini translokaas.

Ravicti sisaldab toimeainena glütseroolfenüülbutüraati.

Ureatsükli häired esinevad harva ja Ravicti nimetati 10. juunil 2010 mitme haigusvormi jaoks harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on leitav Euroopa Ravimiameti veebilehel: ema.europa.eu/en/medicines/_/ema_group_types/ema_orphan.

Kuidas Ravictit kasutatakse?

Ravictit turustatakse vedelikuna (1,1 g/ml), mida võetakse suu kaudu või manustatakse sondi kaudu, mis ulatub nina või maouurise kaudu makku. Ravicti on retseptiravim. Ravictiga ravi tohib määrata ureatsükli häiretega patsientide ravis kogenud arst.

Valgud on lämmastikuallikas ja seepärast tuleb Ravicti kasutamise ajal järgida väikese valgusisaldusega eridieeti, samuti tuleb teatud juhtudel võtta toidulisandeid (sõltuvalt kasvu ja arengu jaoks vajalikust ööpäevasest valgutarbest).

Ravicti ööpäevane annus sõltub patsiendi dieedist, pikkusest ja kehamassist. Ööpäevase annuse kohandamiseks on vaja regulaarseid vereanalüüse. Ravicti ööpäevane annus jagatakse võrdseteks osadeks ja võetakse iga toidukorra ajal. Ravi Ravictiga võib kesta kogu elu, v.a kui patsiendile tehakse edukas maksasiirdamine.

Lisateavet Ravicti kasutamise kohta vt pakendi infolehest või konsulteerige oma arsti või apteekriga.

Kuidas Ravicti toimib?

Ravicti toimeaine glütseroolfenüülbutüraat muundub organismis fenüülatsetaadiks, mis seondub valkudes leiduva aminohappe glutamiiniga, moodustades aine, mis eritub organismist neerude kaudu. Selline valkude eemaldamine vähendab organismi lämmastiksisaldust, vähendades tekkiva ammoniaagi kogust.

Milles seisneb uuringute põhjal Ravicti kasulikkus?

Ravictit võrreldi naatriumfenüülbutüraadiga (samuti ureatsükli häirete ravim) uuringus, milles osales 88 ureatsükli häiretega täiskasvanut. Efektiivsuse põhinäitaja oli vere ammoniaagisisalduse muutus pärast 4-nädalast ravi. Uuring tõendas, et Ravicti oli vere ammoniaagisisalduse reguleerimisel vähemalt sama efektiivne kui võrdlusravim: hinnanguline keskmine ammoniaagisisaldus Ravicti uuringurühmas oli ligikaudu 870 µmol/l (mikromooli liitri kohta) ja naatriumfenüülbutüraadi uuringurühmas ligikaudu 980 µmol/l. Lisauuringutest saadud andmete järgi esines sarnane toime lastel, kes said Ravicti-ravi alates sünnist.

Mis riskid Ravictiga kaasnevad?

Ravicti kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 20st) on kõhulahtisus, kõhupuhitus, peavalu, isutus, oksendamine, väsimus, iiveldus ja ebanormaalne nahalõhn.

Ravictit ei tohi kasutada ägeda hüperammoneemia (vere ammoniaagisisalduse äkiline suurenemine) raviks. Ravicti kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

ELis Ravictile väljastatud müügiloa põhjendus

Euroopa Ravimiamet otsustas, et Ravicti kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja et ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Ravicti on ureatsükli häiretega patsientidel efektiivne vere ammoniaagisisalduse vähendamisel. Ravicti on toimeainet prolungeeritult vabastav ravim, mis tähendab, et toimeaine vabaneb kogu ööpäeva jooksul. See parandab vere ammoniaagisisalduse reguleeritavust kogu ööpäeva jooksul. Sel põhjusel ei tohi Ravictit kasutada ägeda hüperammoneemia raviks, sest siis on vaja kiiremini toimivat ravi.

Lisaks leidis inimravimite komitee, et Ravicti turustamine vedelikuna võib muuta ravimi eriti laste jaoks sobivamaks kui on muud ravimid, mida turustatakse toidule lisatavate graanulitena. Vedel ravimvorm lihtsustab ka sondi kaudu manustamist neelamisraskustega patsientidele.

Ravicti kõrvalnähud on peamiselt seotud soolestikuga ja neid peetakse hallatavateks. Samas oodatakse veel andmeid Ravicti pikaajalise ohutuse kohta.

Mis meetmed võetakse, et tagada Ravicti ohutu ja efektiivne kasutamine?

Ravicti turustaja koostab patsiendiregistri, et koguda teavet ravimi pikaajalise kasulikkuse ja ohutuse kohta.

Ravicti ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, teostatakse Ravicti kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Ravicti kõrvaltoimeid hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks rakendatakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Ravicti kohta

Ravicti müügiluba, mis kehtib kogu Euroopa Liidus, anti 27. novembril 2015.

Lisateave Ravicti kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ravicti

Kokkuvõtte viimane uuendus: 01.2019.