

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

Ravicti (*glyserolifenyylibutyraatti*)

Yleistiedot Ravictista sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Ravicti on ja mihin sitä käytetään?

Ravicti on lääke, jota käytetään hoidettaessa ureakierron ongelmia aikuisilla ja lapsilla silloin, kun näitä sairauksia ei voida hoitaa pelkästään ruokavaliota muuttamalla. Ureakierron häiriöistä kärsivien potilaiden elimistö ei pysty poistamaan jäännöstyppeä, koska heillä ei ole tiettyjä maksaentsyymejä. Jäännöstyyppi muuttuu elimistössä ammoniakiksi, joka on haitallista, kun se kertyy elimistöön. Ravictia käytetään potilailla, joilta puuttuu yksi tai useampi seuraavista entsyymeistä: karbamyylifosfaattisyntetaasi-I, ornitiinikarbamyyli transferaasi, arginiinimeripihkahapposyntetaasi, arginiinimeripihkahappopolaasi, arginaasi I ja ornitiinitranslokaasi.

Ravictin vaikuttava aine on glyserolifenyylibutyraatti.

Ureakierron häiriöt ovat harvinaisia, ja Ravicti nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoitoon käytettävä lääke) useita sairauden muotoja varten 10. kesäkuuta 2010. Lisätietoa harvinaislääkkeistä saa Euroopan lääkeviraston verkkosivustolta ema.europa.eu/en/medicines/ema_group_types/ema_orphan.

Miten Ravictia käytetään?

Ravictia on saatavana nesteinä (1,1 g/ml), jota otetaan suun kautta tai nenästä mahaan tai vatsanpeitteiden läpi mahaan kulkevan letkun kautta. Sitä saa vain lääkärin määräyksestä, ja lääkkeen määrääjänä on oltava sellainen lääkäri, jolla on kokemusta ureakierron häiriöitä sairastavien potilaiden hoitamisesta.

Koska proteiinit ovat typen lähteitä, Ravictia on käytettävä vähäproteiinisen erikoisruokavalion kanssa, ja joskus on käytettävä myös lisäravinteita (sen mukaan, paljonko on saatava päivittäin proteiinia kasvua ja kehitystä varten).

Ravicti-annos määräytyy potilaan ruokavalion, pituuden ja painon mukaan. Hoidon aikana on otettava säännöllisesti verikokeita annoksen mukauttamiseksi. Päivittäinen Ravicti-annos jaetaan yhtä suuriin osiin ja otetaan kunkin ruokailun yhteydessä. Ravicti-hoito saattaa olla elinikäinen, ellei potilaalle tehdä onnistunutta maksansiirtoa.

Lisätietoja Ravictin käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.



Miten Ravicti vaikuttaa?

Ravictin vaikuttava aine, glyserolifenyylibutyraatti, muuttuu kehossa fenyyliasetaatiksi.

Fenyyliasetaatti kiinnittyy proteiineissa olevaan aminohappoon glutamiiniin, jolloin muodostuu aine, jota munuaiset voivat poistaa kehosta. Tämä proteiinien poistaminen pienentää kehon typpipitoisuutta ja vähentää siten sen tuottaman ammoniakkin määrää.

Mitä hyötyä Ravictista on havaittu tutkimuksissa?

Ravictia on verrattu natriumfenyylibutyraattiin (toinen ureakierron häiriöiden hoidossa käytetty lääke) tutkimuksessa, johon osallistui 88 ureakierron häiriöistä kärsivää aikuista. Tehon pääasiallinen mitta oli veren ammoniakkipitoisuuden muutos neljän viikon hoidon jälkeen. Tutkimus osoitti, että veren ammoniakkipitoisuus saatiin Ravictilla hallintaan vähintään yhtä tehokkaasti kuin vertailuvalmisteella: Ravictia saaneiden potilaiden arvioitu keskimääräinen ammoniakkipitoisuus oli noin 870 mikromoolia litrassa, kun natriumfenyylibutyraattia saaneilla potilailla vastaava luku oli noin 980 mikromoolia litrassa. Lisätutkimuksista saadut tiedot osoittivat samanlaisen tehon lapsilla, joita oli hoidettu Ravictilla syntymästä lähtien.

Mitä riskejä Ravictiin liittyy?

Ravictin yleisimmät sivuvaikutukset (joita voi esiintyä useammalla kuin yhdellä potilaalla 20:stä) ovat ripuli, ilmavaivat, päänsärky, vähentynyt ruokahalu, oksentelu, väsymys, pahoinvointi ja poikkeava haju ihosta.

Ravictia ei saa käyttää akuutin hyperammonemian (veren ammoniakkipitoisuuden äkillisen suureneminen) hoitoon. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Ravictin ilmoitetusta sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Ravicti on hyväksytty EU:ssa?

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Ravictin hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Ravictin on osoitettu pienentävän ureakierron häiriöistä kärsivien potilaiden veren ammoniakkipitoisuutta tehokkaasti. Ravicti on depotvalmiste, mikä tarkoittaa, että vaikuttavaa ainetta vapautuu tasaisesti päivän aikana. Näin veren ammoniakkipitoisuus pysyy paremmin hallinnassa päivän kuluessa. Samasta syystä Ravictia ei saa käyttää akuutin hyperammonemian hoitoon, koska siihen tarvitaan nopeammin vaikuttavia lääkkeitä.

Lisäksi komitea katsoi, että koska Ravicti on saatavana nesteinä, lääkkeen ottaminen on etenkin lapsille helpompaa verrattuna muihin lääkkeisiin, joita on saatavana ruokaan lisättävinä rakeina. Nestemäinen valmiste voidaan myös antaa letkun kautta potilaille, jotka eivät pysty nielemään.

Ravictin sivuvaikutukset kohdistuvat pääasiassa suolistoon, ja niiden katsotaan olevan hallittavissa. Ravictin pitkäaikaisesta turvallisuudesta odotetaan kuitenkin lisätietoja.

Miten voidaan varmistaa Ravictin turvallinen ja tehokas käyttö?

Ravictia markkinoiva yhtiö perustaa potilasrekisterin, jotta lääkkeen pitkäaikaisesta hyödystä ja turvallisuudesta saadaan lisää tietoa.

Ravictin turvallisen ja tehokkaan käytön varmistamiseksi valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty suosituksia ja varoituksia terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettavaksi.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Ravictin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Ravictin ilmoitetut sivuvaikutukset arvioidaan huolellisesti, ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Ravictista

Ravicti sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 27. marraskuuta 2015.

Lisätietoa Ravictista on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ravicti

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 01-2019.