



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ravicti (*phénylbutyrate de glycérol*)

Aperçu de Ravicti et pourquoi il est autorisé dans l'UE

Qu'est-ce que Ravicti et dans quel cas est-il utilisé?

Ravicti est un médicament indiqué dans le traitement des troubles du cycle de l'urée chez l'adulte et l'enfant, lorsqu'une modification du régime alimentaire ne suffit pas. Les patients présentant des troubles du cycle de l'urée ne sont pas capables d'éliminer les déchets azotés de l'organisme du fait de l'absence de certaines enzymes du foie. L'organisme transforme les déchets azotés en ammoniaque, qui est nocif s'il s'accumule. Ravicti est utilisé chez les patients qui souffrent d'une carence en une ou plusieurs des enzymes suivantes: carbamoyl-phosphate synthétase I, ornithine carbamoyltransférase, argininosuccinate synthétase, argininosuccinate lyase, arginase I et ornithine translocase.

Ravicti contient la substance active phénylbutyrate de glycérol.

Les troubles du cycle de l'urée sont rares et Ravicti a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) pour plusieurs formes de la maladie le 10 juin 2010. De plus amples informations sur les désignations de médicaments orphelins peuvent être trouvées sur le site web de l'Agence européenne des médicaments ema.europa.eu/en/medicines/ema_group_types/ema_orphan.

Comment Ravicti est-il utilisé?

Ravicti est disponible sous la forme d'un liquide (1,1 g/ml) à prendre par voie orale, ou administré par un tube qui va du nez à l'estomac ou traversant le ventre dans l'estomac. Il n'est délivré que sur ordonnance et ne doit être prescrit que par un médecin habitué à traiter des patients souffrant de troubles du cycle de l'urée.

Étant donné que les protéines sont une source d'azote, Ravicti doit être utilisé avec un régime spécial pauvre en protéines et, parfois, avec des compléments alimentaires (en fonction de l'apport protéique journalier nécessaire à la croissance et au développement).

La dose de Ravicti dépend du régime alimentaire, de la taille et du poids du patient. Des analyses de sang régulières sont nécessaires pour ajuster la dose. La dose journalière totale de Ravicti doit être divisée en quantités égales et administrée avec chaque repas. Le traitement par Ravicti peut être administré à vie, à moins que le patient ne bénéficie d'une greffe du foie réussie.



Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Ravicti, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Ravicti agit-il?

La substance active de Ravicti, le phénylbutyrate de glycérol, est convertie en phénylacétate dans le corps. Le phénylacétate se fixe sur l'acide aminé glutamine qui se trouve dans les protéines pour former une substance que les reins peuvent éliminer de l'organisme. Cette élimination des protéines permet de diminuer les taux d'azote dans le corps, ce qui réduit la quantité d'ammoniaque produite.

Quels sont les bénéfices de Ravicti démontrés au cours des études?

Ravicti a été comparé au phénylbutyrate de sodium (un autre médicament utilisé pour traiter les troubles du cycle de l'urée) dans une étude portant sur 88 adultes souffrant de troubles du cycle de l'urée. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la modification des taux d'ammoniaque dans le sang après 4 semaines de traitement. L'étude a montré que Ravicti était au moins aussi efficace que le comparateur dans le contrôle du taux sanguin d'ammoniaque: le niveau moyen estimé d'ammoniaque était d'environ 870 micromoles par litre chez les patients traités par Ravicti, contre environ 980 micromoles par litre chez les patients traités par phénylbutyrate de sodium. Les données provenant d'études complémentaires ont montré un effet similaire chez les enfants traités par Ravicti dès la naissance.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Ravicti?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Ravicti (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 20) sont les suivants: diarrhée, flatulence (gaz), maux de tête, diminution de l'appétit, vomissements, fatigue, nausées et odeur anormale de la peau.

Ravicti ne doit pas être utilisé pour traiter l'hyperammoniémie aiguë (augmentation soudaine des taux d'ammoniaque dans le sang). Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Ravicti, voir la notice.

Pourquoi Ravicti est-il autorisé dans l'UE?

L'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Ravicti sont supérieurs à ses risques et a autorisé l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE.

Ravicti est efficace pour réduire le taux sanguin d'ammoniaque chez les patients présentant des troubles du cycle de l'urée. Ravicti est un médicament à libération prolongée, ce qui signifie que la substance active est libérée tout au long de la journée. Il en résulte donc un meilleur contrôle des taux d'ammoniaque dans le sang tout au long de la journée. Pour cette même raison, Ravicti ne doit pas être utilisé pour traiter l'hyperammoniémie aiguë, des traitements plus rapides étant nécessaires dans ces cas.

En outre, l'Agence a estimé que puisque Ravicti est disponible sous la forme d'un liquide, cela pourrait rendre le médicament plus agréable au goût, en particulier pour les enfants, par rapport à d'autres médicaments disponibles sous la forme de granulés destinés à être ajoutés aux denrées alimentaires; la forme liquide facilite également l'administration par un tube aux patients incapables de déglutir.

Les effets indésirables de Ravicti affectent principalement l'intestin et sont considérés comme étant gérables. Toutefois, des données supplémentaires sur la sécurité à long terme de Ravicti sont en attente.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Ravicti?

La société qui commercialise Ravicti mettra en place un registre des patients pour obtenir de plus amples informations sur les bénéfices à long terme et la sécurité du médicament.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Ravicti ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Ravicti sont surveillées en permanence. Les effets secondaires rapportés avec Ravicti sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Ravicti

Ravicti a reçu une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne, le 27 novembre 2015.

Des informations sur Ravicti sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:

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

Dernière mise à jour du présent aperçu: 01-2019.