

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

Ravicti (*glicerín-fenilbutirát*)

A Ravicti nevű gyógyszer áttekintése és indoklás, hogy miért engedélyezték az EU-ban

Milyen típusú gyógyszer a Ravicti és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Ravicti egy gyógyszer, amelyet felnőtteknél és gyermekeknél alkalmaznak a karbamidciklus zavarainak kezelésére, ha a betegség kezeléséhez az étrendmódosítás önmagában nem elegendő. A karbamidciklus zavaraiiban szenvedő betegek szervezetéből nem tud eltávolítani a felesleges nitrogén, mert hiányzik néhány májenzimük. A szervezetben a felesleges nitrogén ammóniává alakul át, amelynek felhalmozódása káros hatású. A Ravicti-t olyan betegeknek alkalmazzák, akiknél a következő enzimek egyike vagy azok közül több hiányzik: karbamoil-foszfát-szintáz-I, ornitin-karbamoil-transzferáz, argininoszukcinát-szintetáz, argininoszukcinát-liáz, argináz-I és ornitin-transzlokáz.

A Ravicti hatóanyaga a glicerín-fenilbutirát.

Mivel a karbamidciklus zavarai „ritkának” minősülnek, ezért a Ravicti-t a betegség számos formája tekintetében 2010. június 10-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az Európai Gyógyszerügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/en/medicines/ema_group_types/ema_orphan.

Hogyan kell alkalmazni a Ravicti-t?

A Ravicti folyadék (1,1 g/ml) formájában kapható, amelyet szájon át vagy egy, az orrból a gyomorba, vagy a hasból a gyomorba vezető csövön át alkalmaznak. A gyógyszer csak receptre kapható, és olyan orvosnak kell felírnia, aki jártas a karbamidciklus zavaraiiban szenvedő betegek kezelésében.

Mivel a fehérjék a nitrogén forrásai, a Ravicti-t speciális, alacsony fehérjetartalmú diétával, valamint olykor táplálék-kiegészítőkkel együtt kell alkalmazni (a növekedéshez és fejlődéshez szükséges napi fehérjebeviteltől függően).

A Ravicti adagja a beteg étrendjétől, magasságától és testsúlyától függ. Az adag beállításához rendszeres vörvizsgálatokra van szükség. A Ravicti teljes napi adagját egyenlő részekre kell osztani, és minden étkezés alkalmával be kell venni. Előfordulhat, hogy a Ravicti-t egész életen át szedni kell, kivéve, ha sikeres májtranszplantációra kerül sor.

További információért a Ravicti alkalmazásáról olvassa el a betegtájékoztatót vagy kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejt ki hatását a Ravicti?

A Ravicti hatóanyaga, a glicerín-fenilbutirát a szervezetben fenilacetáttá alakul át. A fenilacetát a fehérjékben található, glutamin nevű aminosavhoz kötődik, ami által egy olyan anyag keletkezik, amelyet a vesék ki tudnak üríteni a szervezetből. A fehérjék eltávolítása által csökken a nitrogén szintje a szervezetben, ami a termelt ammónia mennyiségének mérsékléséhez vezet.

Milyen előnyei voltak a Ravicti alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Ravicti-t nátrium-fenilbutiráttal (a karbamidciklus zavarainak kezelésére alkalmazott másik gyógyszer) hasonlították össze egy 88, a karbamidciklus zavaraiiban szenvedő felnőtt bevonásával végzett vizsgálatban. A fő hatékonysági mutató az ammónia vérben mért szintjének a változása volt 4 heti kezelést követően. A vizsgálat kimutatta, hogy a Ravicti a vér ammóniaszintjének szabályozásában legalább olyan hatásos, mint a komparátor: a becsült átlagos ammóniaszint körülbelül 870 mikromol/liter volt a Ravicti-vel kezelt betegek esetében, míg a nátrium-fenilbutiráttal kezelt betegekénél körülbelül 980 mikromol/litert tett ki. Kiegészítő vizsgálatokból származó adatok hasonló hatást mutattak a születésüktől kezdve Ravicti-vel kezelt gyermekek esetében is.

Milyen kockázatokkal jár a Ravicti alkalmazása?

A Ravicti leggyakoribb mellékhatásai (20 beteg közül több mint 5-nél jelentkezhet) a hasmenés, bégáz távozása (flatulencia), fejfájás, csökkent étvágy, hányás, fáradtság, émelygés és kellemetlen bűrszag.

A Ravicti nem alkalmazható a heveny hiperammonémia (az ammónia szint hirtelen megemelkedése a vérben) kezelésére. A Ravicti alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Ravicti forgalomba hozatalát az EU-ban?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Ravicti alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer forgalombahozatali engedélye az EU-ban kiadható.

A karbamidciklus zavaraiiban szenvedő betegekénél igazolták a Ravicti hatékonyan csökkenti vér ammóniaszintjét. A Ravicti egy nyújtott hatóanyag-leadású gyógyszer, ami azt jelenti, hogy a hatóanyag leadása a nap folyamán egyenletesen történik. Ez azt eredményezi, hogy az egész nap jobban szabályozott a vér ammóniaszintje. Ugyanebből az okból a Ravicti nem alkalmazható heveny hiperammonémia kezelésére, mivel ezekben az esetekben gyorsabban ható kezelésekre van szükség.

Ezenkívül az Ügynökség úgy ítélte meg, hogy mivel a Ravicti folyadékként kapható, ez kellemesebbé teheti a gyógyszert, különösen a gyermekek számára, összehasonlítva más gyógyszerekkel, amelyek az ételhez adandó granulátumok formájában kaphatók; a folyékony gyógyszerforma megkönnyíti a gyógyszer csövön keresztül történő beadását is azoknak a betegeknek, akik neurológiai problémák miatt képtelenek a nyelésre.

A Ravicti mellékhatásai főként a beleket érintik, és azokat kezelhetőnek tekintik. A Ravicti hosszú távú biztonságosságára vonatkozóan azonban további adatok várhatók.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Ravicti biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Ravicti-t forgalmazó vállalat jegyzéket fog készíteni a betegekről, hogy további információkhoz jusson a gyógyszer hosszú távú előnyeiről és biztonságosságáról.

A Ravicti biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Ravicti alkalmazása során jelentkező információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan monitorozzák. A Ravicti alkalmazásával összefüggésben jelentett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Ravicti-val kapcsolatos egyéb információ

2015. november 27-én a Ravicti megkapta az Európai Unió egész területére érvényes feltételes forgalomba hozatali engedélyt.

További információ a Ravicti gyógyszerről az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ravicti

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 01-2019.