



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ravicti (*glicerolio fenilbutiratas*)

Ravicti apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Ravicti ir kam jis vartojamas?

Ravicti – tai vaistas, kuriuo gydomi suaugusieji ir vaikai, sergantys šlapalo ciklo sutrikimais, kurių neįmanoma suvaldyti vien tik mitybos pokyčiais. Iš pacientų, kuriems diagnozuoti šlapalo ciklo sutrikimai, organizmo azoto atliekos negali pasišalinti dėl kai kurių kepenų fermentų trūkumo. Organizme azoto atliekos virsta amoniaku, kuris kaupdamasis tampa kenksmingu. Ravicti skiriamas pacientams, kurių organizme trūksta vieno ar kelių iš šių fermentų: karbamoilfosfato sintazės I, ornitino karbamoiltransferazės, arginino sukcinato sintetazės, arginino sukcinato liazės, arginazės I ir ornitino nešiklio.

Ravicti sudėtyje yra veikliosios medžiagos glicerolio fenilbutirato.

Šlapalo ciklo sutrikimai yra laikomi reta liga, todėl 2010 m. birželio 10 d. Ravicti buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai dėl įvairių ligos formų skirtingu metu. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite Agentūros tinklalapyje adresu ema.europa.eu/en/medicines/_ema_group_types/ema_orphan.

Kaip vartoti Ravicti?

Gaminamas Ravicti skystis (1,1 g/ml), kuris vartojamas per burną arba per vamzdelį, kuris per nosį arba pilvą įvedamas į skrandį. Jo galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą turi paskirti gydytojas, kuris turi šlapalo ciklo sutrikimų turinčių pacientų gydymo patirties.

Kadangi azoto šaltinis yra baltymai, Ravicti būtina vartoti kartu laikantis specialios nedaug baltymų turinčių maisto produktų dietos ir kartais kartu vartojant maisto papildus (atsižvelgiant į baltymų paros normą, būtiną organizmo augimui ir vystymuisi).

Ravicti dozė priklauso nuo paciento mitybos, ūgio ir svorio. Pacientui būtina atlikti kraujo tyrimus, kad būtų galima pakoreguoti vaisto paros dozę. Visą Ravicti paros dozę reikia padalyti į lygias dalis ir vartoti kiekvieno valgio metu. Ravicti gali tekti vartoti visą gyvenimą, nebent pacientui būtų sėkmingai persodintos kepenys.

Daugiau informacijos apie Ravicti vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.



Kaip veikia Ravicti?

Žmogaus organizme veiklioji Ravicti medžiaga glicerolio fenilbutiratas pavirsta į fenilacetatą. Fenilacetatas jungiasi prie baltymuose esančios aminorūgšties glutamino; taip susiformuoja medžiaga, kurią inkstai pašalina iš žmogaus organizmo. Pašalinus baltymus, organizme sumažėja azoto kiekis ir kartu jame susidarančio amoniako kiekis.

Kokia Ravicti nauda nustatyta tyrimų metu?

Ravicti buvo lyginamas su natrio fenilbutiratu (kitu vaistu, kuriuo gydomi šlapalo ciklo sutrikimai) atliekant tyrimą, kuriame dalyvavo 88 šlapalo ciklo sutrikimų turintys suaugusieji. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo amoniako kiekio kraujyje pokytis po 4 gydymo savaičių. Tyrimas parodė, kad Ravicti yra ne mažiau veiksmingas nei palyginamasis vaistas siekiant kontroliuoti amoniako kiekį kraujyje: apskaičiuotas vidutinis amoniako kiekis Ravicti gydytų pacientų kraujyje buvo maždaug 870 mikromoliai litre, o natrio fenilbutiratu gydytų pacientų kraujyje – maždaug 980 mikromoliai litre. Papildomais patvirtinamųjų tyrimų duomenimis, Ravicti poveikis gydant vaikus nuo gimimo buvo panašus.

Kokia rizika susijusi su Ravicti vartojimu?

Dažniausi Ravicti šalutiniai reiškiniai (galintys pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 20) yra viduriavimas, dujų kaupimasis, galvos skausmas, sumažėjęs apetitas, vėmimas, nuovargis, pykinimas ir neįprastas odos kvapas.

Ravicti negalima gydyti ūmios hiperamonemijos (staigiai padidėjusio amoniako kiekio kraujyje). Išsamų visų šalutinio poveikio reiškinių, apie kuriuos pranešta gydant Ravicti, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Ravicti buvo registruotas ES?

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Ravicti nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Nustatyta, kad Ravicti yra veiksmingas siekiant sumažinti amoniako kiekį šlapalo ciklo sutrikimų turinčių pacientų kraujyje. Ravicti yra pailginto atpalaidavimo vaistas; tai reiškia, kad veiklioji medžiaga išskiriama tolygiai visą parą. Todėl amoniako kiekis kraujyje geriau kontroliuojamas visą parą. Dėl tos pačios priežasties Ravicti negalima gydyti ūmios hiperamonemijos, nes tokiais atvejais pacientui reikia greičiau veikiančių vaistų.

Be to, agentūra laikėsi nuomonės, kad, kadangi Ravicti tiekiamas skysčio forma, šis vaistas gali būti priimtinesnis nei kiti vaistai, kurie tiekiami į maistą įmaišomų granulių forma, ypač vaikams; skystą preparatą taip pat galima suleisti per vamzdelį pacientams, kurie negali ryti.

Šalutinis Ravicti poveikis daugiausia buvo susijęs su virškinimo traktu ir laikytasi nuomonės, kad jį galima kontroliuoti. Vis dėlto dar turi būti pateikta daugiau duomenų apie ilgalaikį Ravicti saugumą.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Ravicti vartojimą?

Ravicti platinanti bendrovė sukurs pacientų registrą, kad surinktų daugiau informacijos apie šio vaisto ilgalaikę naudą ir saugumą.

I preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Ravicti vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Ravicti vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Ravicti šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Ravicti

Ravicti buvo registruotas visoje ES 2015 m. lapkričio 27 d.

Daugiau informacijos apie Ravicti rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ravicti

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2019-01.