



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ravicti (*glicerīna fenilbutirāts*)

Ravicti pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Ravicti* un kāpēc tās lieto?

Ravicti ir zāles, ko lieto pieaugušajiem un bērniem, lai ārstētu urīnvielas cikla traucējumus, ko nevar ārstēt tikai ar izmaiņām uzturā. Noteikta aknu enzīma trūkuma dēļ šie pacienti nespēj no organisma izvadīt slāpekļa atlikumu. Organismā slāpekļa atlikums pārvēršas amonjakā, kas uzkrājoties ir kaitīgs. *Ravicti* lieto pacientiem, kuriem trūkst viens vai vairāki no šiem enzīmiem: karbamoilfosfāta sintāze I, ornitīna karbamoiltransferāze, arginīna sukcināta sintetāze, argininosukcināta liāze, argināze I un ornitīna translokāze.

Ravicti satur aktīvo vielu glicerīna fenilbutirātu.

Urīnvielas cikla traucējumi ir reta slimība, un 2010. gada 10. jūnijā *Ravicti* tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai vairākām šīs slimības formām. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama Eiropas Zāļu aģentūras tīmekļa vietnē ema.europa.eu/en/medicines/_/ema_group_types/ema_orphan.

Kā lieto *Ravicti*?

Ravicti ir pieejamas šķidrums veidā (1,1 g/ml) iekšķīgai lietošanai vai ievadot cauruli, kas caur degunu vai vēdera dobumu tiek ievietota kuņģī. Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti, un tās drīkst izrakstīt tikai ārsts, kuram ir pieredze pacientu ar urīnvielas cikla traucējumiem ārstēšanā.

Olbaltumvielas ir slāpekļa avots, tāpēc *Ravicti* lietošanas laikā jāievēro īpaša diēta, kurā ir maz olbaltumvielu, un dažkārt papildus jālieto uztura bagātinātāji (atkarībā no olbaltumvielu uzņemta daudzuma dienā, kas nepieciešams organisma augšanai un attīstībai).

Ravicti deva ir atkarīga no pacienta diētas, garuma un svara. Lai pielāgotu devu, jāveic regulāras asins analīzes. *Ravicti* kopējā dienas deva jāsadala vienādās daļās, ko lieto katrā ēdienreizē. Ārstēšana ar *Ravicti* var turpināties visas dzīves garumā, ja vien pacientam nav veikta sekmīga aknu transplantācija.

Papildu informāciju par *Ravicti* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.



Kā *Ravicti* darbojas?

Ravicti aktīvā viela glicerīna fenilbutirāts organismā tiek pārveidota par fenilacetātu. Fenilacetāts piesaistās olbaltumvielās esošajam aminoskābes glutamīnam, kā rezultātā veidojas viela, ko no organisma var izvadīt nierēs. Izvadot olbaltumvielas, slāpekļa koncentrācija organismā krītas, mazinot saražotā amonjaka daudzumu.

Kādi *Ravicti* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pētījumā, kurā piedalījās 88 pieaugušo pacientu ar urīnvielas cikla traucējumiem, *Ravicti* tika salīdzinātas ar nātrija fenilbutirātu (citām zālēm, ko lieto urīnvielas cikla traucējumu ārstēšanā). Galvenais iedarbīguma rādītājs bija amonjaka līmeņa izmaiņas asinīs pēc četrām terapijas nedēļām. Pētījumā tika konstatēts, ka *Ravicti* bija vismaz tikpat iedarbīga kā komparators amonjaka līmeņa kontrolēšanai asinīs — aprēķinātais vidējais amonjaka līmenis bija aptuveni 870 mikromoli litrā ar *Ravicti* ārstētiem pacientiem, salīdzinot ar aptuveni 980 mikromoliem litrā pacientiem, kuri tika ārstēti ar nātrija fenilbutirātu. Papildpētījumu dati liecināja, ka *Ravicti* bija līdzīga iedarbība uz bērniem, lietojot tās kopš dzimšanas.

Kāds risks pastāv, lietojot *Ravicti*?

Visbiežākās blakusparādības, lietojot *Ravicti* (kas var rasties vairāk nekā 1 no 20 cilvēkiem), ir caureja, flatulence (gāzu uzkrāšanās), galvassāpes, samazināta apetīte, vemšana, nogurums, slikta dūša un patoloģiska ādas smarža.

Ravicti nedrīkst lietot, lai ārstētu akūtu hiperamonēmiju (strauju amonjaka līmeņa paaugstināšanos asinīs). Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Ravicti*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Ravicti* ir reģistrētas ES?

Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Ravicti*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Ravicti efektīvi pazemina amonjaka līmeni asinīs pacientiem ar urīnvielas cikla traucējumiem. *Ravicti* ir ilgstošas iedarbības zāles, kas nozīmē, ka aktīvā viela vienmērīgi izdalās visas dienas laikā. Līdz ar to amonjaka līmenis asinīs tiek labāk kontrolēts visas dienas garumā. Tomēr šā paša iemesla dēļ *Ravicti* nedrīkst lietot akūtas hiperamonēmijas ārstēšanai, jo šādos gadījumos nepieciešamas zāles ar ātrāku iedarbību.

Tā kā *Ravicti* ir pieejamas šķidrums veidā, aģentūra secināja, ka šo zāļu lietošana varētu būt patīkamāka galvenokārt bērniem, salīdzinot ar citām zālēm, kas pieejamas pārtikai pievienojamu granulu veidā; šķidrā zāļu forma arī atvieglo ievadīšanu pa cauruli pacientiem, kuri nespēj norīt zāles.

Ravicti blakusparādības galvenokārt skar zarnu darbību un kopumā tiek uzskatītas par kontrolējamām. Tomēr šobrīd tiek gaidīti papildu dati par ilgtermiņa drošību ārstēšanā ar *Ravicti*.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Ravicti* lietošanu?

Uzņēmumam, kas piedāvā tirgū *Ravicti*, būs jāizveido pacientu reģistrs, lai saņemtu papildu informāciju par zāļu ilgtermiņa iedarbības efektivitāti un drošumu.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Ravicti* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Ravicti* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Ravicti* lietošanu saistītās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Ravicti*

2015. gada 27. novembrī *Ravicti* saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Ravicti* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ravicti

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2019. gada janvārī.