

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

Ravicti (*glycerolfenylbutyraat*)

Een overzicht van Ravicti en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Ravicti en wanneer wordt het voorgeschreven?

Ravicti is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van ureumcyclusstoornissen bij volwassenen en kinderen wanneer het probleem niet onder controle kan worden gekregen met alleen maar veranderingen in hun dieet. Patiënten met ureumcyclusstoornissen kunnen geen overtollige stikstof uit het lichaam verwijderen omdat ze bepaalde leverenzymen missen. Overtollige stikstof wordt in het lichaam omgezet in ammoniak, die schadelijk is wanneer deze zich ophoopt. Ravicti wordt gebruikt bij patiënten die één of meer van de volgende enzymen missen: carbamoylfosfaatsynthetase-I, ornithinecarbamoyltransferase, argininosuccinaatsynthetase, argininosuccinaatlyase, arginase I en ornithinetranslocase.

Ravicti bevat de werkzame stof glycerolfenylbutyraat.

Ureumcyclusstoornissen zijn zeldzaam, en Ravicti werd op 10 juni 2010 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen) voor meerdere vormen van de ziekte. Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/en/medicines/_/ema_group_types/ema_orphan.

Hoe wordt Ravicti gebruikt?

Ravicti is beschikbaar als een vloeistof (1,1 g/ml) die wordt ingenomen via de mond of wordt toegediend via een slang die van de neus naar de maag loopt of via de buik naar de maag. Het geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en moet worden voorgeschreven door een arts met ervaring in de behandeling van patiënten met ureumcyclusstoornissen.

Aangezien eiwitten een bron van stikstof zijn, moet Ravicti samen met een speciaal eiwitarm dieet worden gebruikt, en soms met dieetsupplementen (afhankelijk van de dagelijkse eiwitname die nodig is voor groei en ontwikkeling).

De dosis Ravicti is afhankelijk van het dieet, de lengte en het gewicht van de patiënt. Er moeten regelmatig bloedtests worden gedaan om de dosis bij te stellen. De totale dagelijkse dosis Ravicti moet worden verdeeld in gelijke hoeveelheden en bij elke maaltijd worden ingenomen. Behandeling met Ravicti moet mogelijk een heel leven worden aangehouden, tenzij de patiënt een succesvolle levertransplantatie ondergaat.

Zie de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Ravicti.

Hoe werkt Ravicti?

De werkzame stof in Ravicti, glycerolfenylbutyraat, wordt in het lichaam omgezet in de stof fenylacetaat. Fenylacetaat bindt zich aan het in eiwitten aanwezige aminozuurglutamine waardoor een stof ontstaat die de nieren uit het lichaam kunnen verwijderen. Door deze verwijdering van eiwitten daalt het stikstofgehalte in het lichaam en wordt dus minder ammoniak aangemaakt.

Welke voordelen bleek Ravicti tijdens de studies te hebben?

Ravicti werd vergeleken met natriumfenylbutyraat (een ander geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van ureumcyclusstoornissen) in een studie onder 88 volwassenen met dergelijke stoornissen. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was de verandering van het ammoniakgehalte in het bloed na vier weken behandeling. De studie toonde aan dat Ravicti minstens zo doeltreffend was als de stof waarmee het werd vergeleken wat betreft het reguleren van het ammoniakgehalte in het bloed: het geschatte gemiddelde ammoniakgehalte bedroeg ongeveer 870 micromol per liter bij met Ravicti behandelde patiënten, tegenover ongeveer 980 micromol per liter bij patiënten die met natriumfenylbutyraat waren behandeld. Uit aanvullende studies bleek een soortgelijk effect bij kinderen die vanaf de geboorte met Ravicti werden behandeld.

Welke risico's houdt het gebruik van Ravicti in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Ravicti (die bij meer dan 1 op de 20 personen kunnen optreden) zijn diarree, flatulentie (winderigheid), hoofdpijn, verminderde eetlust, braken, vermoeidheid, zich niet lekker voelen en een abnormale geur van de huid.

Ravicti mag niet worden gebruikt voor de behandeling van acute hyperammoniëmie (plotselinge verhoging van het ammoniakgehalte in het bloed). Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Ravicti.

Waarom is Ravicti geregistreerd in de EU?

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Ravicti groter zijn dan de risico's en dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Ravicti is werkzaam voor het verlagen van het ammoniakgehalte in het bloed bij patiënten met ureumcyclusstoornissen. Ravicti is een geneesmiddel met voortdurende afgifte, wat betekent dat de werkzame stof de hele dag door wordt afgegeven. Op die manier wordt het bloedammoniakgehalte gedurende de hele dag beter onder controle gehouden. Om die reden mag Ravicti niet worden gebruikt voor de behandeling van acute hyperammoniëmie, aangezien daarvoor sneller werkende behandelingen nodig zijn.

Verder was het Geneesmiddelenbureau van mening dat Ravicti, aangezien dit middel verkrijgbaar is als vloeistof, smakelijker kan zijn, vooral voor kinderen, vergeleken met andere geneesmiddelen die verkrijgbaar zijn als korreltjes die aan voedsel moeten worden toegevoegd. De vloeibare formulering vergemakkelijkt ook toediening via een slang aan patiënten die niet kunnen slikken.

De bijwerkingen van Ravicti betreffen voornamelijk de darmen en worden beschouwd als beheersbaar. Er worden echter meer gegevens over de veiligheid op lange termijn van Ravicti verwacht.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Ravicti te waarborgen?

Het bedrijf dat Ravicti op de markt brengt, zal een patiëntenregister opzetten om meer informatie te verkrijgen over de voordelen en veiligheid van het geneesmiddel op lange termijn.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Ravicti, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Ravicti continu gemonitord. Bijwerkingen waargenomen voor Ravicti worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig wordt actie genomen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Ravicti

Op 27 november 2015 is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Ravicti verleend.

Meer informatie over Ravicti is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau:

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

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 01-2019.