



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Ravicti (*fenylomaślan glicerolu*)

Przegląd wiedzy na temat leku Ravicti i uzasadnienie udzielenia Pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### Co to jest lek Ravicti i w jakim celu się go stosuje

Ravicti to lek przeznaczony do stosowania w zaburzeniach cyklu mocznikowego u dorosłych i dzieci, gdy chorób nie można leczyć wyłącznie zmianami w diecie. Pacjenci z zaburzeniami cyklu mocznikowego nie są w stanie usuwać z organizmu azotu, ponieważ brakuje im niektórych enzymów wątrobowych. W organizmie azot jest przekształcany w amoniak, którego gromadzenie jest szkodliwe. Lek Ravicti jest stosowany u pacjentów z brakiem co najmniej jednego z następujących enzymów: syntazy karbamoilofosforanowej I, karbamoilotransferazy ornitynowej, syntetazy argininobursztynianowej, liazy argininobursztynianowej, arginazy I i translokazy ornitynowej.

Ravicti zawiera substancję czynną fenylomaślan glicerolu.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z zaburzeniami cyklu mocznikowego choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 10 czerwca 2010 r. Ravicti uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocznego można znaleźć tutaj: [ema.europa.eu/en/medicines/\\_ema\\_group\\_types/ema\\_orphan](http://ema.europa.eu/en/medicines/_ema_group_types/ema_orphan).

### Jak stosować lek Ravicti

Lek Ravicti jest dostępny w postaci płynu (1,1 g/ml) do przyjmowania doustnie lub podawania przez rurkę biegnącą od nosa do żołądka lub od ściany brzucha do żołądka. Lek Ravicti jest wydawany tylko na receptę i powinien go przepisywać lekarz z doświadczeniem w leczeniu pacjentów z zaburzeniami cyklu mocznikowego.

Ponieważ białka są źródłem azotu, lek Ravicti należy stosować w połączeniu ze specjalną dietą niskobiałkową i niekiedy z suplementami diety (zależnie od dziennego spożycia białka w diecie, niezbędnego do prawidłowego wzrostu i rozwoju).

Dawka leku Ravicti zależy od diety, wzrostu i masy ciała pacjenta. Należy regularnie wykonywać badania krwi w celu dostosowania dawki. Całkowitą dawkę dobową leku Ravicti należy podzielić na jednakowe części podawane z każdym posiłkiem. Lek Ravicti może wymagać stosowania przez całe życie, chyba że u pacjenta przeprowadzony zostanie z powodzeniem przeszczep wątroby.



Więcej informacji o sposobie stosowania leku Ravicti znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

## **Jak działa lek Ravicti**

Substancja czynna leku Ravicti, fenylomaślan glicerolu, jest przekształcana w organizmie w substancję o nazwie fenyllooctan. Fenyllooctan łączy się z występującym w białkach aminokwasem glutaminą i tworzy substancję, która może zostać wydalona z organizmu przez nerki. Wydalenie białek obniża poziom azotu w organizmie, co zmniejsza ilość wytworzonego amoniaku.

## **Korzyści ze stosowania leku Ravicti wykazane w badaniach**

Lek Ravicti porównywano z fenylomaślanem sodu (innym lekiem stosowanym w leczeniu zaburzeń cyklu mocznikowego) w badaniu z udziałem 88 dorosłych pacjentów z zaburzeniami cyklu mocznikowego. Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana stężenia amoniaku we krwi po 4 tygodniach leczenia. W badaniu wykazano, że lek Ravicti był przynajmniej tak skuteczny jak lek porównawczy w kontrolowaniu stężenia amoniaku we krwi: szacowane średnie stężenie amoniaku wynosiło około 870 mikromoli na litr u pacjentów leczonych lekiem Ravicti w porównaniu do około 980 mikromoli na litr u pacjentów leczonych fenylomaślanem sodu. Dodatkowe dane z badań uzupełniających wykazały podobne działanie u dzieci, które otrzymywały lek Ravicti od urodzenia.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem leku Ravicti**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Ravicti (mogące wystąpić u więcej niż 1 na 20 pacjentów) to: biegunka, wzdęcia (gazy), ból głowy, zmniejszony apetyt, wymioty, zmęczenie, mdłości i nieprawidłowy zapach skóry.

Leku Ravicti nie wolno stosować w leczeniu ostrej hiperamonemii (nagły wzrost stężenia amoniaku we krwi). Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Ravicti znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Ravicti w UE**

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Ravicti przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Lek Ravicti jest skuteczny w obniżaniu stężenia amoniaku we krwi u pacjentów z zaburzeniami cyklu mocznikowego. Ravicti to lek o przedłużonym uwalnianiu, co oznacza, że substancja czynna jest uwalniana w ciągu doby. Pozwala to na bardziej skuteczne kontrolowanie stężenia amoniaku we krwi. Z tego samego powodu leku Ravicti nie wolno stosować do leczenia ostrej hiperamonemii, ponieważ w takich przypadkach potrzebne są leki działające szybciej.

Ponadto Agencja uznała, że ponieważ lek Ravicti jest dostępny jako płyn, może on być łatwiejszy do przyjęcia, zwłaszcza dla dzieci, w porównaniu z innymi lekami dostępnymi jako granulki dodawane do pożywienia. Postać płynna ułatwia także podawanie przez rurkę pacjentom niezdolnym do połykania.

Działania niepożądane leku Ravicti dotyczą głównie jelit oraz były uważane za możliwe do kontrolowania. Oczekuje się jednak dalszych danych na temat długoterminowego bezpieczeństwa leku Ravicti.

## **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Ravicti**

Firma, która wprowadza lek Ravicti do obrotu, utworzy rejestr pacjentów w celu uzyskania dodatkowych informacji na temat długotrwałych korzyści i bezpieczeństwa leku.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Ravicti w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Ravicti są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Ravicti są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

## **Inne informacje dotyczące leku Ravicti**

Lek Ravicti otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 27 listopada 2015 r.

Dalsze informacje na temat leku Ravicti znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ravicti](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ravicti)

Data ostatniej aktualizacji: 01.2019.