

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

Ravicti (fenilbutirato de glicerol)

Um resumo sobre Ravicti e porque está autorizado na UE

O que é Ravicti e para que é utilizado?

Ravicti é um medicamento utilizado para o tratamento de doenças do ciclo da ureia em adultos e crianças, quando as doenças não podem ser tratadas apenas através de alterações na dieta. Os doentes com doenças do ciclo da ureia não eliminam os resíduos de azoto do organismo por terem um défice de certas enzimas hepáticas (do fígado). No organismo, os resíduos de azoto são transformados em amónia, que é prejudicial quando se acumula. Ravicti é utilizado em doentes que não têm uma ou mais das seguintes enzimas: carbamoil fosfato sintase I, ornitina carbamoil transferase, arginino-succinato sintetase, arginino-succinato ligase, arginase I e ornitina translocase.

Ravicti contém a substância ativa fenilbutirato de glicerol.

As doenças do ciclo da ureia são raras, e Ravicti foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) para várias formas da doença em 10 de junho de 2010. Mais informações sobre as designações órfãs podem ser encontradas no sítio da internet da Agência Europeia de Medicamentos: ema.europa.eu/en/medicines/_/ema_group_types/ema_orphan.

Como se utiliza Ravicti?

Ravicti está disponível na forma de um líquido (1,1 g/ml) que deve ser tomado por via oral ou através de um tubo que vai do nariz ao estômago ou que passa através da barriga até ao estômago. Só pode ser obtido mediante receita médica e deve ser receitado por um médico com experiência no tratamento de doentes com doenças do ciclo da ureia.

Como as proteínas são uma fonte de azoto, Ravicti deve ser utilizado em conjunto com uma dieta especial pobre em proteínas e, por vezes, com suplementos dietéticos (dependendo do nível de ingestão diária de proteínas necessário à promoção do crescimento e desenvolvimento).

A dose diária de Ravicti depende da dieta, da altura e do peso do doente. São necessárias análises regulares ao sangue para ajustar a dose. A dose diária total de Ravicti deve ser dividida em quantidades iguais e administrada com cada refeição. O tratamento com Ravicti pode ser necessário para toda a vida, exceto se o doente for submetido com sucesso a um transplante de fígado.

Para mais informações sobre a utilização de Ravicti, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Ravicti?

A substância ativa de Ravicti, o fenilbutirato de glicerol, é transformada pelo organismo numa substância chamada fenilacetato. O fenilacetato liga-se à glutamina do aminoácido presente em proteínas para formar uma substância que os rins podem eliminar do corpo. Esta eliminação de proteínas diminui os níveis de azoto no organismo, reduzindo a quantidade de amónia produzida.

Quais os benefícios demonstrados por Ravicti durante os estudos?

Ravicti foi comparado com o fenilbutirato de sódio (outro medicamento utilizado para tratar doenças do ciclo da ureia) num estudo que incluiu 88 adultos com doenças do ciclo da ureia. O principal parâmetro de eficácia foi a alteração do nível de amónia no sangue após 4 semanas de tratamento. O estudo demonstrou que Ravicti foi, pelo menos, tão eficaz como o medicamento de comparação no controlo do nível de amónia no sangue: o nível médio estimado de amónia foi de cerca de 870 micromoles por litro nos doentes tratados com Ravicti, em comparação com aproximadamente 980 micromoles por litro nos doentes tratados com o fenilbutirato de sódio. Dados de estudos adicionais revelaram um efeito semelhante em crianças tratadas com Ravicti desde o nascimento.

Quais são os riscos associados a Ravicti?

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Ravicti (que podem afetar mais de 1 em cada 20 pessoas) são diarreia, flatulência (gases), dores de cabeça, diminuição do apetite, vómitos, cansaço, enjoos e odor anormal da pele.

Ravicti é contraindicado para o tratamento da hiperamoniemia aguda (aumento súbito dos níveis de amónia no sangue). Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização relativamente a Ravicti, consulte o Folheto Informativo.

Porque está Ravicti autorizado na UE?

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Ravicti são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Ravicti é eficaz na redução do nível de amónia no sangue nos doentes com doenças do ciclo da ureia. Ravicti é um medicamento de libertação controlada, ou seja, a substância ativa é libertada uniformemente ao longo do dia. Consequentemente, tal resulta num melhor controlo dos níveis de amónia no sangue ao longo de todo o dia. Por esta mesma razão, Ravicti é contraindicado para o tratamento da hiperamoniemia aguda, pois, nestes casos, são necessários tratamentos de atuação mais rápida.

Além disso, a Agência considerou que o facto de Ravicti estar disponível na forma de um líquido tornaria o medicamento mais agradável, sobretudo para as crianças, em comparação com outros medicamentos disponíveis na forma de granulado para adicionar aos alimentos; a formulação líquida também facilita a sua administração por tubo nos doentes que não conseguem engolir.

Os efeitos secundários de Ravicti afetam sobretudo o intestino e são considerados controláveis. Contudo, aguardam-se dados adicionais sobre a segurança a longo prazo de Ravicti.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Ravicti?

A empresa que comercializa Ravicti criará um registo de doentes para obter informações adicionais sobre os benefícios e a segurança a longo prazo do medicamento.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Ravicti.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Ravicti são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Ravicti são cuidadosamente avaliados e são tomadas todas as medidas necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Ravicti

Em 27 de novembro de 2005, Ravicti recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia.

Mais informações sobre Ravicti podem ser encontradas no sítio da internet da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ravicti

Este resumo foi atualizado pela última vez em 01-2019.