



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ravicti (*fenilbutirat de glicerină*)

O prezentare generală a Ravicti și de ce este autorizat acest medicament în UE

Ce este Ravicti și pentru ce se utilizează?

Ravicti este un medicament utilizat pentru abordarea terapeutică a tulburărilor ciclului ureei la adulți și la copii, atunci când aceste boli nu pot fi gestionate doar prin modificarea alimentației. Pacienții cu tulburări ale ciclului ureei nu pot elimina din organism azotul rezidual deoarece le lipsesc anumite enzime hepatice. În organism, azotul rezidual se transformă în amoniac, care este nociv când se acumulează. Ravicti se utilizează la pacienți care au un deficit al uneia sau al mai multora dintre enzimele următoare: carbamil-fosfat-sintetază-I, ornitin-carbamiltransferază, argininosuccinat-sintetază, argininosuccinat-liază, arginază I și ornitin-translocază.

Ravicti conține substanța activă fenilbutirat de glicerină.

Tulburările ciclului ureei sunt rare, iar Ravicti a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) pentru mai multe forme ale acestei boli la 10 iunie 2010. Informații suplimentare cu privire la medicamentele desemnate ca orfane pot fi găsite pe site-ul Agenției Europene pentru Medicamente ema.europa.eu/en/medicines/ /ema_group_types/ema_orphan.

Cum se utilizează Ravicti?

Ravicti este disponibil sub formă de lichid (1,1 g/ml), care se administrează oral sau printr-un tub ce trece din nas în stomac sau prin abdomen în stomac. Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală și trebuie prescris de un medic cu experiență în tratarea pacienților cu tulburări ale ciclului ureei.

Întrucât proteinele sunt o sursă de azot, Ravicti trebuie utilizat în asociere cu un regim alimentar special, cu conținut redus de proteine și, uneori, în asociere cu suplimente alimentare (în funcție de aportul zilnic de proteine necesare pentru creștere și dezvoltare).

Doza zilnică de Ravicti depinde de alimentația, greutatea și înălțimea pacientului. Trebuie efectuate regulat analize de sânge pentru ajustarea dozei. Doza zilnică de Ravicti trebuie împărțită în cantități egale și administrată la fiecare masă. Ravicti poate fi un tratament pe viață, cu excepția cazului în care pacientului i se efectuează un transplant hepatic reușit.



Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Ravicti, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Ravicti?

Fenilbutiratul de glicerină, substanța activă din Ravicti, se transformă în organism în fenilacetat. Fenilacetatul se leagă de glutamină, un aminoacid care se găsește în proteine, pentru a forma o substanță pe care rinichii o pot elimina din organism. Eliminarea proteinelor reduce nivelurile de azot din organism, micșorând cantitatea de amoniac produsă.

Ce beneficii a prezentat Ravicti pe parcursul studiilor?

Ravicti a fost comparat cu fenilbutiratul de sodiu (alt medicament folosit pentru a trata tulburările ciclului ureei) într-un studiu care a cuprins 88 de adulți cu tulburări ale ciclului ureei. Principalul indicator al eficacității a fost modificarea concentrației de amoniac din sânge după 4 săptămâni de tratament. Studiile au arătat că Ravicti a fost cel puțin la fel de eficace ca medicamentul cu care a fost comparat în ceea ce privește reglarea concentrațiilor de amoniac din sânge: concentrația medie estimată de amoniac a fost de aproximativ 870 micromoli pe litru la pacienții tratați cu Ravicti, față de aproximativ 980 micromoli pe litru la pacienții tratați cu fenilbutirat de sodiu. Datele din studiile suplimentare au arătat un efect similar la copiii tratați cu Ravicti de la naștere.

Care sunt riscurile asociate cu Ravicti?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Ravicti (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 20) sunt diaree, flatulență (gaze), dureri de cap, scăderea poftei de mâncare, vărsături, oboseală, greață și miros anormal al pielii.

Ravicti este contraindicat în tratamentul hiperamoniemiei acute (creșterea bruscă a concentrației de amoniac din sânge). Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Ravicti, consultați prospectul.

De ce este Ravicti autorizat în UE?

Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Ravicti sunt mai mari decât riscurile asociate și că acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ravicti este eficace în reducerea concentrației de amoniac din sânge la pacienți cu tulburări ale ciclului ureei. Ravicti este un medicament cu eliberare continuă, adică substanța activă este eliberată uniform pe parcursul zilei. Prin urmare, se ajunge la o mai bună reglare a concentrațiilor de azot din sânge pe parcursul zilei. Din același motiv, Ravicti este contraindicat în tratamentul hiperamoniemiei deoarece în aceste cazuri sunt necesare tratamente cu efect mai rapid.

În plus, Agenția a considerat că, întrucât este disponibil sub formă lichidă, Ravicti poate fi mai plăcut la gust, în special pentru copii, față de alte medicamente disponibile sub formă de granule care se adaugă în alimente; formula lichidă facilitează, de asemenea, administrarea printr-un tub la pacienții care nu pot înghiți.

Reacțiile adverse ale Ravicti afectează în principal intestinalele și sunt considerate gestionabile. Cu toate acestea, se așteaptă date suplimentare privind siguranța pe termen lung a Ravicti.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Ravicti?

Compania care comercializează Ravicti va înființa un registru al pacienților pentru a obține informații suplimentare privind avantajele și siguranța pe termen lung a medicamentului.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Ravicti, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Similar tuturor medicamentelor, datele cu privire la utilizarea Ravicti sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse raportate la Ravicti sunt evaluate cu atenție și sunt luate orice măsuri necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Ravicti

Ravicti a primit o autorizație de punere pe piață validă pe întreg teritoriul UE, la 27 noiembrie 2015.

Informații suplimentare cu privire la Ravicti sunt disponibile pe site-ul Agenției:

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

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 01-2019.