



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ravicti (*glycerolfenylbutyrát*)

Prehľad o lieku Ravicti a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Ravicti a na čo sa používa?

Ravicti je liek, ktorý sa u dospelých a detí používa na liečbu porúch močovinového cyklu (urea cycle disorder, UCD), ak ochorenia nie je možné liečiť samotnými zmenami v stravovaní. Pacienti s poruchami močovinového cyklu nie sú schopní vylučovať z tela odpadový dusík, pretože im chýbajú niektoré pečňové enzýmy. Odpadový dusík sa v tele mení na amoniak, ktorý je škodlivý, ak sa akumuluje. Liek Ravicti sa používa u pacientov, ktorým chýba jeden alebo viac z týchto enzýmov: karbamoylfosfátsyntetáza I, ornitín karbamoyltransferáza, argininosukcinát syntetáza, argininosukcinát lyáza, argináza I a ornitíntranslokáza.

Liek Ravicti obsahuje liečivo glycerolfenylbutyrát.

Poruchy močovinového cyklu sú zriedkavé, a preto bol liek Ravicti pre niekoľko foriem ochorenia 10. júna 2010 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia („orphan medicine“). Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť na webovej stránke Európskej agentúry pre lieky: ema.europa.eu/en/medicines/_/ema_group_types/ema_orphan.

Ako sa liek Ravicti užíva?

Liek Ravicti je k dispozícii vo forme kvapaliny (1,1 g/ml), ktorá sa užíva ústami alebo sa podáva cez trubicu, ktorá prechádza z nosa do žalúdka alebo cez brucho do žalúdka. Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a liečbu má predpisovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s poruchami močovinového cyklu.

Keďže bielkoviny sú zdrojom dusíka, liek Ravicti sa musí užívať spolu so špeciálnou diétou s nízkym obsahom bielkovín a niekedy spolu s výživovými doplnkami (v závislosti od denného príjmu bielkovín potrebných na rast a vývin).

Dávka lieku Ravicti závisí od diéty, výšky a hmotnosti pacienta. Aby bolo možné dávku upraviť, treba vykonávať pravidelné krvné testy. Celková denná dávka lieku Ravicti sa má rozdeliť na rovnaké množstvá a podávať s každým jedlom. Je možné, že pacient bude liek Ravicti s užívať počas celého života, pokiaľ nepodstúpi úspešnú transplantáciu pečene.

Viac informácií o užívaní lieku Ravicti si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.



Akým spôsobom liek Ravicti účinkuje?

Liečivo lieku Ravicti, glycerolfenylbutyrát, sa v tele premieňa na látku nazývanú fenylacetát. Fenylacetát sa naviaže na aminokyselinu glutamín nachádzajúcu sa v bielkovinách, aby vytvorila látku, ktorú obličky dokážu z tela vylúčiť. Vylúčením bielkovín sa znižuje hladina dusíka v tele, a tým aj množstvo vyprodukovaného amoniaku.

Aké prínosy lieku Ravicti boli preukázané v štúdiách?

Liek Ravicti sa porovnával s fenylbutyrátom sodným (iným liekom, ktorý sa používa na liečbu porúch močovinového cyklu) v štúdiu, na ktorej sa zúčastnilo 88 dospelých s poruchami močovinového cyklu. Hlavným meradlom účinnosti bola zmena hladiny amoniaku v krvi po štyroch týždňoch liečby. V štúdiu sa preukázalo, že liek Ravicti bol pri kontrole hladiny amoniaku v krvi prinajmenšom taký účinný ako porovnávací liek: odhadovaná priemerná hladina amoniaku bola približne 870 mikromólov/l u pacientov liečených liekom Ravicti v porovnaní s približne 980 mikromólov/l u pacientov liečených fenylbutyrátom sodným. Na základe údajov z ďalších štúdií sa preukázalo, že liek Ravicti má podobný účinok u detí, ktoré boli ním liečené od narodenia.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Ravicti?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Ravicti (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 20) sú hnačka, flatulencia (plynatosť), bolesť hlavy, znížená chuť do jedla, vracanie, únava, nevoľnosť a abnormálny zápach kože.

Liek Ravicti sa nesmie používať na liečbu akútnej hyperamonémie (náhleho zvýšenia hladiny amoniaku v krvi). Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Ravicti a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Ravicti povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Ravicti sú väčšie ako riziká spojené s jeho užívaním a že liek môže byť povolený na jeho používanie v EÚ.

Liek Ravicti je účinný pri znižovaní hladiny amoniaku v krvi u pacientov s poruchami močovinového cyklu. Ravicti je liek s postupným uvoľňovaním, čo znamená, že liečivo sa uvoľňuje počas celého dňa. Práve v dôsledku toho je hladina amoniaku v krvi lepšie kontrolovaná počas celého dňa. Z toho istého dôvodu sa liek Ravicti nesmie používať na liečbu akútnej hyperamonémie, lebo v týchto prípadoch sú potrebné rýchlejšie pôsobiace lieky.

Agentúra okrem toho usúdila, že vzhľadom na to, že liek Ravicti je k dispozícii vo forme kvapaliny, mohol by byť prijateľnejší najmä pre deti v porovnaní s inými liekmi, ktoré sú k dispozícii vo forme granulátu pridávaného do jedla. Tekutá forma tiež uľahčuje podávanie lieku cez trubicu pacientom, ktorí nie sú schopní prehĺtať v dôsledku neurologických problémov.

Vedľajšie účinky lieku Ravicti postihujú najmä črevá a považujú sa za zvládnuteľné. Očakávajú sa však ďalšie údaje o dlhodobej bezpečnosti lieku Ravicti.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Ravicti?

Spoločnosť, ktorá liek Ravicti uvádza na trh, vytvorí register pacientov, aby sa získali ďalšie informácie o dlhodobých prínosoch a bezpečnosti tohto lieku.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Ravicti boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o užívaní lieku Ravicti sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Ravicti sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Ravicti

Lieku Ravicti bolo dňa 27. novembra 2015 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o Ravicti sa nachádzajú na webovej stránke agentúry ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ravicti

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 01-2019