

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

## Ravicti (*glicerol fenilbutirat*)

Pregled zdravila Ravicti in zakaj je odobreno v EU

### Kaj je zdravilo Ravicti in za kaj se uporablja?

Ravicti je zdravilo, ki se uporablja za obvladovanje motenj cikla sečnine pri odraslih in otrocih, kadar bolezni ni mogoče obvladovati samo s spreminjanjem prehrane. Bolniki z motnjami cikla sečnine ne morejo odvajati odpadnega dušika iz telesa, ker jim primanjkuje nekaterih jetrnih encimov. V telesu se odpadni dušik spremeni v amoniak, ki je ob nakopičenju škodljiv. Zdravilo Ravicti se uporablja pri bolnikih, ki jim manjka eden ali več naslednjih encimov: karbamoilfosfat sintetaza-I, ornitin karbamoiltransferaza, argininosukcinat sintetaza, argininosukcinat liaza, arginaza I in ornitin translokaza.

Zdravilo Ravicti vsebuje učinkovino glicerol fenilbutirat.

Motnje cikla sečnine so redke, zato je bilo zdravilo Ravicti 10. junija 2010 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za več oblik bolezni. Nadaljnje informacije glede določitve zdravila sirote lahko najdete na spletni strani Evropske agencije za zdravila: [ema.europa.eu/en/medicines/ /ema\\_group\\_types/ema\\_orphan](http://ema.europa.eu/en/medicines/ /ema_group_types/ema_orphan).

### Kako se zdravilo Ravicti uporablja?

Zdravilo Ravicti je na voljo kot tekočina (1,1 g/ml), ki se jemlje peroralno ali se jo dovaja po cevki, ki poteka skozi nos do želodca oziroma skozi trebuh v želodec. Izdaja zdravila je le na recept, predpiše pa ga lahko le zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov z motnjami cikla sečnine.

Ker so beljakovine vir dušika, je treba zdravilo Ravicti uporabljati skupaj s posebno dieto z nizko vsebnostjo beljakovin in včasih s prehranskimi dopolnili (odvisno od dnevnega vnosa beljakovin, potrebnih za rast in razvoj).

Odmerek zdravila Ravicti je odvisen od bolnikove prehrane, telesne višine in mase. Za prilagoditev odmerka so potrebne redne krvne preiskave. Skupni dnevni odmerek zdravila Ravicti je treba razdeliti na enake količine in jih zaužiti ob vsakem obroku. Bolnik se mora zdraviti z zdravilom Ravicti celo življenje, razen v primeru uspešne presaditve jeter.

Za več informacij glede uporabe zdravila Ravicti glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

## Kako zdravilo Ravicti deluje?

Učinkovina zdravila Ravicti, glicerol fenilbutirat, se v telesu pretvori v snov, imenovano fenilacetat. Fenilacetat se veže na aminokislino glutamin, prisotno v beljakovinah, in tvori snov, ki jo lahko ledvice odstranijo iz telesa. Z odstranitvijo beljakovin se zmanjša količina dušika v telesu, s tem pa se zmanjša količina proizvedenega amoniaka.

## Kakšne koristi je zdravilo Ravicti izkazalo v študijah?

Zdravilo Ravicti so v študiji, v kateri je sodelovalo 88 odraslih z motnjami cikla sečnine, primerjali z natrijevim fenilbutiratom (drugim zdravilom, ki se uporablja za zdravljenje motenj cikla sečnine). Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba ravni amoniaka v krvi po štirih tednih zdravljenja. Študija je pokazala, da je zdravilo Ravicti pri uravnavanju ravni amoniaka v krvi vsaj tako učinkovito kot primerjalno zdravilo: povprečna raven amoniaka je bila ocenjena na približno 870 mikromolov na liter pri bolnikih, ki so se zdravili z zdravilom Ravicti, v primerjavi s približno 980 mikromoli na liter pri bolnikih, ki so se zdravili z natrijevim fenilbutiratom. Podatki iz podobnih študij so pokazali podoben učinek pri otrocih, ki so bili z zdravilom Ravicti zdravljeni od rojstva.

## Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Ravicti?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Ravicti (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 20 oseb) so driska, flatulenca (vetrovi), glavobol, zmanjšan apetit, bruhanje, utrujenost, slabost in nenormalen vonj kože.

Zdravilo Ravicti se ne sme uporabljati za zdravljenje akutne hiperamoniemije (nenadnega zvišanja ravni amoniaka v krvi). Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Ravicti glejte navodilo za uporabo.

## Zakaj je zdravilo Ravicti odobreno v EU?

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da so koristi zdravila Ravicti večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Ravicti je učinkovito pri zniževanju ravni amoniaka v krvi pri bolnikih z motnjami cikla sečnine. Zdravilo Ravicti je zdravilo s podaljšanim sproščanjem, kar pomeni, da se učinkovina sprošča čez cel dan. Zaradi tega je nadzor nad ravni amoniaka v krvi skozi cel dan boljši. Zdravilo Ravicti se zato ne sme uporabljati za zdravljenje akutne hiperamoniemije, saj so v teh primerih potrebna hitrejša zdravljenja.

Agencija je poleg tega menila, da bi bilo lahko zdravilo Ravicti, ker je na voljo v obliki tekočine, bolj všečno predvsem otrokom, v primerjavi z drugimi razpoložljivimi zdravili, ki so na voljo v obliki zrnc, ki se dodajajo živilom; tekoča formulacija pa omogoča tudi dajanje prek cevke bolnikom, ki ne morejo požirati.

Neželeni učinki zdravila Ravicti vplivajo predvsem na črevesje in veljajo za obvladljive. Vendar pa se nadaljnji podatki o dolgoročni varnosti zdravila Ravicti še pričakujejo.

## Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Ravicti?

Družba, ki trži zdravilo Ravicti, bo vzpostavila register bolnikov za pridobivanje dodatnih informacij o dolgoročnih koristih in varnosti zdravila.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Ravicti upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Ravicti stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Ravicti, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

## **Druge informacije o zdravilu Ravicti**

Za zdravilo Ravicti je bilo 27. novembra 2015 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Ravicti so na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ravicti](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ravicti)

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 01-2019.