

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

Ravicti (*glycerolfenylbutyrat*)

Sammanfattning av Ravicti och varför det är godkänt inom EU

Vad är Ravicti och vad används det för?

Ravicti är ett läkemedel som används för behandling av ureacykelrubbningar hos vuxna och barn när enbart kostförändringar inte kan hålla sjukdomarna under kontroll. Hos patienter med ureacykelrubbningar kan kroppen inte göra sig av med överskottskväve eftersom de saknar vissa leverenzymmer. Överskottet av kväve omvandlas i kroppen till ammoniak, som är skadligt när det ansamlas. Ravicti ges till patienter som saknar ett eller flera av följande enzymer: karbamoylfosfatsyntas I, ornitinkarbamoyltransferas, argininsuccinatsyntetas, argininsuccinatlyas, arginas I och ornitintranslokas.

Ravicti innehåller den aktiva substansen glycerolfenylbutyrat.

Ureacykelrubbningar är sällsynta och Ravicti klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) för flera olika former av sjukdomen den 10 juni 2010. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/en/medicines/ /ema_group_types/ema_orphan.

Hur används Ravicti?

Ravicti finns som vätska (1,1 g/ml) som ska tas via munnen eller som ges genom en sond som går från näsan till magsäcken eller genom buken in till tarmarna. Det är receptbelagt och det ska förskrivas av en läkare med erfarenhet av att behandla patienter med ureacykelrubbningar.

Eftersom proteiner innehåller kväve måste Ravicti tas i kombination med en speciell lågprotein diet. Ibland behövs även kosttillskott (beroende på patientens dagliga proteinbehov för att växa och utvecklas).

Dosen av Ravicti beror på patientens kost, längd och vikt. Regelbundna blodprover behövs för att justera dosen. Den totala dagliga dosen Ravicti ska delas upp i lika stora delar och ges varje måltid. Behandlingen med Ravicti kan bli livslång om inte patienten genomgår en lyckad levertransplantation.

För mer information om hur du använder Ravicti, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Ravicti?

Den aktiva substansen i Ravicti, glycerolfenylbutyrat, omvandlas i kroppen till fenylacetat. Fenylacetat binder till aminosyran glutamin som finns i proteiner och bildar ett ämne som njurarna kan avlägsna från kroppen. När dessa proteiner avlägsnas minskar kvävenivåerna i kroppen och mängden ammoniak som bildas minskar.

Vilken nytta med Ravicti har visats i studierna?

Ravicti har jämförts med natriumfenylbutyrat (ett annat läkemedel för behandling av ureacykelrubbningar) i en studie som omfattade 88 vuxna med ureacykelrubbningar. Huvudeffektmåttet var förändringen av ammoniaknivåerna i blodet efter 4 veckors behandling. Studien visade att Ravicti var minst lika effektivt som jämförelseläkemedlet när det gällde att kontrollera mängden ammoniak i blodet. Mängden ammoniak i blodet var runt 870 mikromol per liter hos de patienter som behandlades med Ravicti jämfört med runt 980 mikromol per liter hos de patienter som behandlades med natriumfenylbutyrat. Data från tilläggsstudier visade på en liknande effekt hos barn som behandlades med Ravicti från födseln.

Vilka är riskerna med Ravicti?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Ravicti (kan uppträda hos fler än 1 av 20 personer) är diarré, tarmgaser, huvudvärk, minskad aptit, kräkningar, trötthet, illamående och onormal lukt från huden.

Ravicti får inte användas för att behandla akut hyperammonemi (plötslig ökning av mängden ammoniak i blodet). En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Ravicti finns i bipacksedeln.

Varför är Ravicti godkänt i EU?

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att fördelarna med Ravicti är större än riskerna och att Ravicti kan godkännas för försäljning i EU.

Ravicti är effektivt för att minska mängden ammoniak i blodet hos patienter med ureacykelrubbningar. Ravicti är ett så kallat depåläkemedel. Det innebär att den aktiva substansen frisätts under hela dygnet. Detta leder till en bättre kontroll över mängden ammoniak i blodet under hela dygnet. Av detta skäl får inte Ravicti användas för att behandla akut hyperammonemi eftersom man då behöver ha mer snabbverkande behandlingar.

Myndigheten fann även att eftersom Ravicti är en vätska kan det göra läkemedlet smakligare, särskilt för barn, än andra läkemedel som består av granulat (korn) som ska tillsättas maten. Vätskan gör det också lättare att ge läkemedlet via sond till patienter som inte kan svälja.

Biverkningar av Ravicti påverkar främst tarmen och bedömdes som hanterbara. Ytterligare data om Ravictis säkerhet på lång sikt inväntas.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Ravicti?

Företaget som marknadsför Ravicti kommer att inrätta ett patientregister för att samla in ytterligare information om nyttan och säkerheten med läkemedlet på lång sikt.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Ravicti har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Ravicti kontinuerligt. Biverkningar som har rapporterats för Ravicti utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Ravicti

Den 27 november 2015 beviljades Ravicti ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Ravicti finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/ravicti.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 01-2019.