



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ravicti (*glycerol phenylbutyrate*)

Información general sobre Ravicti y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Ravicti y para qué se utiliza?

Ravicti es un medicamento que se utiliza para gestionar los trastornos del ciclo de la urea en adultos y niños, cuando las enfermedades no pueden gestionarse únicamente mediante cambios en la dieta. Los pacientes con trastornos en el ciclo de la urea no pueden deshacerse del nitrógeno de desecho del cuerpo debido a la falta de ciertas enzimas hepáticas. En el cuerpo, el nitrógeno de desecho se transforma en amoníaco, que es perjudicial cuando se acumula. Ravicti se utiliza en pacientes con falta de una o más de las siguientes enzimas: carbamoilfosfato-sintasa I, ornitina carbamoiltransferasa, argininosuccinato sintetasa, argininosuccinato liasa, arginasa I y ornitina translocasa.

Ravicti contiene el principio activo fenilbutirato de glicerol.

Los trastornos del ciclo de la urea son raros, y Ravicti fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) para varias formas de la enfermedad el 10 de junio de 2010. Puede encontrar información adicional sobre las designaciones como medicamento huérfano en la página web de la Agencia Europea de Medicamentos: ema.europa.eu/en/medicines/ema_group_types/ema_orphan.

¿Cómo se usa Ravicti?

Ravicti está disponible como líquido (1,1 g/ml) para administrar por vía oral, o a través de un tubo que va de la nariz al estómago o bien del vientre al estómago. Solo puede obtenerse con receta de un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con trastornos del ciclo de la urea.

Como las proteínas son una fuente de nitrógeno, Ravicti se debe usar junto con una dieta especial baja en proteínas y, a veces, con complementos dietéticos (en función de la ingesta diaria de proteínas necesarias para el crecimiento y el desarrollo).

La dosis de Ravicti depende del peso y la estatura del paciente. Durante el tratamiento, se necesitan análisis de sangre regulares para ajustar la dosis diaria. La dosis de Ravicti debe dividirse en cantidades iguales y administrarse con cada comida. Ravicti puede ser un tratamiento de por vida, a menos que el paciente se someta a un trasplante de hígado con éxito.



Para mayor información sobre el uso de Ravicti, consulte el prospecto o contacte con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Ravicti?

El principio activo de Ravicti, el fenilbutirato de glicerol, se convierte en el organismo en una sustancia llamada fenilacetato. La presencia de fenilacetato da lugar a la glutamina de aminoácidos, detectada en proteínas, para formar una sustancia que los riñones pueden retirar del organismo. Esta eliminación de proteínas disminuye los niveles de nitrógeno en el cuerpo, reduciendo la cantidad de amoníaco producido.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Ravicti en los estudios realizados?

Ravicti se ha comparado con el fenilbutirato de sodio (otro medicamento usado para tratar los trastornos del ciclo de la urea) en un estudio en el que participaron 88 adultos con trastornos del ciclo de la urea. El criterio principal de valoración de la eficacia fue la variación del nivel de amoníaco en sangre después de 4 semanas del tratamiento. El estudio reveló que Ravicti era, como mínimo, tan efectivo como el comparador en el control del nivel de amoníaco en sangre: la media estimada del nivel de amoníaco fue aproximadamente de 870 micromoles por litro en pacientes tratados con Ravicti, en comparación con 980 micromoles aproximadamente por litro en pacientes tratados con fenilbutirato de sodio. Los datos de estudios adicionales mostraron un efecto similar en los niños tratados con Ravicti desde el nacimiento.

¿Cuál es el riesgo asociado a Ravicti?

Los efectos adversos más frecuentes con Ravicti (que pueden afectar a más de una de cada 20 personas) son la diarrea, flatulencias (gases), dolor de cabeza, reducción del apetito, vómitos, cansancio, náuseas y olor cutáneo anormal.

Ravicti no se debe usar para el tratamiento de la hiperamonemia aguda (aumento repentino de los niveles de amoníaco en sangre). Para consultar la lista completa de efectos adversos y restricciones de Ravicti, ver el prospecto.

¿Por qué se ha autorizado Ravicti en la UE?

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Ravicti son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

Se demostró que Ravicti era efectivo en la reducción del nivel de amoníaco en sangre en pacientes con trastornos del ciclo de la urea. Ravicti es un medicamento de acción prolongada, lo que significa que el principio activo se libera de forma regular durante el día, por lo que es eficaz para reducir el nivel de amoníaco en sangre durante el día. Por esta misma razón, Ravicti no se debe usar para tratar la hiperamonemia aguda, ya que en estos casos se necesitan tratamientos de actuación más rápida.

Además, la Agencia consideró que ya que Ravicti está disponible en forma de líquido, podría hacer que el medicamento tuviese un sabor más agradable, especialmente para los niños, en comparación con otros medicamentos disponibles, como gránulos para añadir a la comida. La fórmula líquida también facilita su administración a través de un tubo para los pacientes que no pueden tragar.

Los efectos adversos de Ravicti afectan principalmente al intestino y se consideran controlables. Sin embargo, se esperan datos adicionales sobre la seguridad a largo plazo de Ravicti.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Ravicti?

La empresa que comercializa Ravicti establecerá un registro de pacientes para obtener más información sobre los beneficios a largo plazo y la seguridad del medicamento.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Ravicti se han incluido también en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Ravicti se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados con Ravicti son evaluados cuidadosamente, adoptándose las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Ravicti

Ravicti ha recibido una autorización de comercialización válida en toda la EU el 27 de noviembre de 2015.

Puede encontrar información adicional sobre Ravicti en la página web de la Agencia:

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

Fecha de la última actualización del presente resumen: 01-2019