

## **Gebrauchsinformation: Information für Patienten**

### **RAVICTI 1,1 g/ml Flüssigkeit zum Einnehmen** Glycerolphenylbutyrat

**Lesen Sie die gesamte Packungsbeilage sorgfältig durch, bevor Sie mit der Einnahme dieses Arzneimittels beginnen, denn sie enthält wichtige Informationen.**

- Heben Sie die Packungsbeilage auf. Vielleicht möchten Sie diese später nochmals lesen.
- Wenn Sie weitere Fragen haben, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.
- Dieses Arzneimittel wurde Ihnen persönlich verschrieben. Geben Sie es nicht an Dritte weiter. Es kann anderen Menschen schaden, auch wenn diese die gleichen Beschwerden haben wie Sie.
- Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Siehe Abschnitt 4.

#### **Was in dieser Packungsbeilage steht**

1. Was ist RAVICTI und wofür wird es angewendet?
2. Was sollten Sie vor der Einnahme von RAVICTI beachten?
3. Wie ist RAVICTI einzunehmen?
4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?
5. Wie ist RAVICTI aufzubewahren?
6. Inhalt der Packung und weitere Informationen

#### **1. Was ist RAVICTI und wofür wird es angewendet?**

RAVICTI enthält den Wirkstoff „Glycerolphenylbutyrat“, der angewendet wird, um sechs bekannte „Harnstoffzyklusstörungen“ (UCDs) bei Erwachsenen und Kindern zu behandeln. Zu den UCDs gehören Mangelzustände an bestimmten Leberenzymen wie z. B. der Carbamoylphosphat-Synthetase I (CPS), Ornithintranscarbamylase (OTC), Argininosuccinat-Synthetase (ASS), Argininosuccinat-Lyase (ASL), Arginase I (ARG) oder Ornithin-Translokase (Hyperammonämie-Hyperornithinämie-Homocitrullinurie-Syndrom, HHH).

RAVICTI muss in Kombination mit einer eiweißarmen Diät – unter Umständen auch eine Diät mit Nahrungsergänzungen, z. B. mit essenziellen Aminosäuren (Arginin, Citrullin, eiweißfreier Kalorienzuschlag) eingenommen werden.

#### **Über Harnstoffzyklusstörungen**

- Bei Harnstoffzyklusstörungen kann der Körper den Stickstoff aus den Eiweißen, die wir essen, nicht entfernen.
- Normalerweise verwandelt der Körper den Stickstoff im Eiweiß in ein Abfallprodukt, das „Ammoniak“. Die Leber entfernt dann Ammoniak über einen Zyklus, der als „Harnstoffzyklus“ bezeichnet wird, aus dem Körper.
- Bei Harnstoffzyklusstörungen kann der Körper nicht genug Leberenzyme bilden, um den überschüssigen Stickstoff zu entfernen.
- Das bedeutet, dass sich Ammoniak im Körper sammelt. Wenn Ammoniak nicht aus dem Körper entfernt wird, kann dies das Gehirn schädigen und zu Bewusstseinsstörungen oder Koma führen.
- Harnstoffzyklusstörungen sind selten.

#### **Wie wirkt RAVICTI?**

RAVICTI unterstützt den Körper dabei, Stickstoff auszuscheiden. Dadurch wird die Ammoniakmenge in Ihrem Körper reduziert.

## 2. Was sollten Sie vor der Einnahme von RAVICTI beachten?

### **RAVICTI darf nicht eingenommen werden,**

- wenn Sie allergisch gegen Glycerolphenylbutyrat sind
- wenn Sie eine akute Hyperammonämie (hohe Ammoniakspiegel im Blut) haben, die eine schnellere Intervention erfordert (siehe Abschnitt „Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen“).

Wenn Sie nicht sicher sind, ob einer der oben genannten Punkte auf Sie zutrifft, sprechen Sie mit Ihrem Arzt oder Apotheker, bevor Sie RAVICTI einnehmen.

### **Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen**

Bitte sprechen Sie mit Ihrem Arzt oder Apotheker, bevor Sie RAVICTI einnehmen,

- wenn Sie Probleme mit Ihren Nieren oder Ihrer Leber haben – denn RAVICTI wird über die Nieren und die Leber aus Ihrem Körper ausgeschieden
- wenn Sie Probleme mit Ihrer Bauchspeicheldrüse, Ihrem Magen oder Darm haben – diese Organe sind für die Aufnahme von RAVICTI in den Körper verantwortlich.

Wenn einer der oben genannten Punkte auf Sie zutrifft (oder Sie nicht sicher sind), sprechen Sie mit Ihrem Arzt oder Apotheker, bevor Sie RAVICTI einnehmen.

In manchen Fällen, wie bei einer Infektion oder nach einer Operation, kann die Ammoniakmenge trotz der Behandlung mit diesem Arzneimittel ansteigen und das Gehirn schädigen (hyperammonämische Enzephalopathie).

In anderen Fällen steigt die Ammoniakmenge im Blut schnell an. In diesem Fall verhindert RAVICTI nicht, dass der Ammoniakspiegel in Ihrem Blut sehr hoch steigt.

Hohe Ammoniakspiegel führen zu Übelkeit, Erbrechen oder Verwirrtheit.

### **Informieren Sie Ihren Arzt oder gehen Sie direkt ins Krankenhaus, wenn Sie eines dieser Zeichen bemerken.**

Labortests sind notwendig, damit Ihr Arzt die korrekte Dosis für Sie festlegen und kontrollieren kann.

### **Einnahme von RAVICTI zusammen mit anderen Arzneimitteln**

Informieren Sie Ihren Arzt oder Apotheker, wenn Sie andere Arzneimittel einnehmen, kürzlich andere Arzneimittel eingenommen haben oder beabsichtigen, andere Arzneimittel einzunehmen.

Informieren Sie Ihren Arzt oder Apotheker insbesondere dann, wenn Sie eines der folgenden Arzneimittel einnehmen; es könnte weniger wirksam sein, wenn es mit RAVICTI angewendet wird. Wenn Sie diese Arzneimittel einnehmen, benötigen Sie regelmäßige Blutuntersuchungen:

- Midazolam und Barbiturate – zur Sedierung, bei Schlafproblemen oder Epilepsie
- Verhütungsmittel

Informieren Sie Ihren Arzt auch, wenn Sie die folgenden Arzneimittel einnehmen, da sie die Ammoniakmenge in Ihrem Körper erhöhen können oder die Wirkungsweise von RAVICTI ändern:

- Kortikosteroide – zur Behandlung von entzündeten Bereichen im Körper
- Valproat – ein Arzneimittel zur Behandlung von Epilepsie
- Haloperidol – zur Behandlung von psychischen Erkrankungen
- Probenecid – zur Behandlung von hohen Harnsäurespiegeln im Blut, die zu Gicht führen können (Hyperurikämie)
- Lipasehemmer (wie z. B. Orlistat) – zur Behandlung von Fettleibigkeit
- Lipase in Pankreasersatztherapien

Wenn einer der oben genannten Punkte auf Sie zutrifft (oder Sie nicht sicher sind), sprechen Sie mit Ihrem Arzt, bevor Sie RAVICTI einnehmen.

### **Schwangerschaft, Stillzeit und Fortpflanzungsfähigkeit**

- Wenn Sie schwanger sind, informieren Sie Ihren Arzt, bevor Sie mit der Einnahme von RAVICTI beginnen. Wenn Sie während der Einnahme von RAVICTI schwanger werden, sprechen Sie mit Ihrem Arzt. RAVICTI sollte während der Schwangerschaft nicht eingenommen werden, da ein Risiko für Ihr ungeborenes Kind nicht ausgeschlossen werden kann.
- Wenn Sie eine Frau im gebärfähigen Alter sind, müssen Sie eine wirkungsvolle Verhütungsmethode während der Behandlung mit RAVICTI anwenden. Sprechen Sie mit Ihrem Arzt über die beste Verhütungsmethode für Sie.
- Wenn Sie RAVICTI einnehmen, sollten Sie mit Ihrem Arzt sprechen, falls Sie stillen möchten. Es sollte eine Entscheidung darüber getroffen werden, ob gestillt wird oder die Einnahme von RAVICTI fortgesetzt wird, wobei der Nutzen der Behandlung für Sie und die Vorteile des Stillens für Ihr Kind berücksichtigt werden müssen. RAVICTI kann in die Muttermilch übertreten und ein Risiko für das Neugeborene/den Säugling kann nicht ausgeschlossen werden.

### **Verkehrstüchtigkeit und Fähigkeit zum Bedienen von Maschinen**

RAVICTI kann großen Einfluss auf die Verkehrstüchtigkeit und die Fähigkeit zum Bedienen von Maschinen haben. Nach der Einnahme von RAVICTI kann Ihnen schwindelig sein, oder Sie können Kopfschmerzen haben. Patienten sollten kein Fahrzeug führen oder Maschinen bedienen, während bei ihnen diese Nebenwirkungen bestehen.

### **3. Wie ist RAVICTI einzunehmen?**

Nehmen Sie dieses Arzneimittel immer genau nach Absprache mit Ihrem Arzt ein. Fragen Sie bei Ihrem Arzt oder Apotheker nach, wenn Sie sich nicht sicher sind.

Sie müssen während der Behandlung mit RAVICTI eine spezielle eiweißarme Diät befolgen.

- Diese Diät wird für Sie von Ihrem Arzt und Ihrem Ernährungsberater festgelegt.
- Sie müssen diese Diät sorgfältig befolgen.
- Sie müssen möglicherweise Nahrungsergänzungen mit Aminosäuren einnehmen.
- Sie müssen Ihr Leben lang behandelt werden und eine Diät einhalten, außer wenn Sie eine erfolgreiche Lebertransplantation haben.

#### **Wie viel wird eingenommen?**

Ihr Arzt wird Ihnen sagen, wie viel RAVICTI Sie jeden Tag einnehmen sollten.

- Ihre tägliche Dosis richtet sich nach Ihrer Größe und Ihrem Gewicht, der Eiweißmenge in Ihrer Diät und nach Ihrem Gesamtzustand der Harnstoffzyklusstörung.
- Ihr Arzt kann Ihnen eine geringere Dosis geben, wenn Sie Nieren- oder Leberprobleme haben.
- Sie werden regelmäßige Blutuntersuchungen benötigen, damit Ihr Arzt die richtige Dosis für Sie bestimmen kann.
- Ihr Arzt gibt Ihnen eventuell die Anweisung, RAVICTI mehr als dreimal täglich einzunehmen. Bei kleinen Kindern kann es vier- bis sechsmal täglich sein. Zwischen jeder Dosis müssen mindestens 3 Stunden liegen.

#### **Einnahme dieses Arzneimittels**

Ihr Arzt wird Ihnen sagen, wie RAVICTI Flüssigkeit zum Einnehmen eingenommen wird. Es kann folgendermaßen eingenommen werden:

- über den Mund
- über einen Schlauch, der durch Ihren Bauch (Abdomen) in den Magen eingeführt wird – eine sogenannte „Gastrostomiesonde“
- über einen Schlauch, der durch Ihre Nase in den Magen geführt wird – eine sogenannte „nasogastrale Sonde“

Nehmen Sie RAVICTI über den Mund ein, wenn Ihr Arzt Ihnen keine anderen Anweisungen gegeben hat.

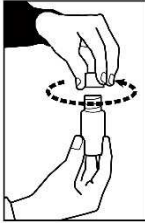
## RAVICTI und Mahlzeiten

Nehmen Sie RAVICTI mit oder direkt nach der Mahlzeit ein. Kleine Kinder sollten das Arzneimittel während oder direkt nach dem Füttern erhalten.

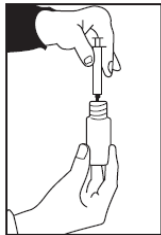
### Abmessung der Dosis

- Verwenden Sie eine Applikationsspritze für Zubereitungen zum Einnehmen, um Ihre Dosis zu messen.
- Sie benötigen die RAVICTI-Flasche und eine Applikationsspritze für Zubereitungen zum Einnehmen, um die richtige Menge RAVICTI zu verwenden.

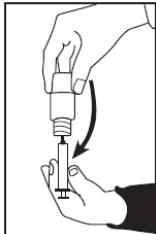
1. Öffnen Sie die RAVICTI-Flasche, indem Sie den Deckel hinunterdrücken und diesen nach links drehen.



2. Stecken Sie die Spitze der Applikationsspritze in den integrierten Spritzeneinsatz in der Flasche.

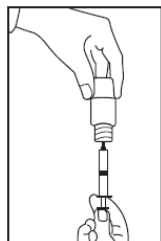


3. Drehen Sie die Flasche mit aufgesetzter Spritze auf den Kopf.



4. Füllen Sie die Applikationsspritze durch Herunterziehen des Kolbens mit der Menge RAVICTI, die Ihr Arzt Ihnen verschrieben hat.

- Hinweis: Falls möglich, verwenden Sie die Applikationsspritze mit der ml-Größe, die der empfohlenen Dosis am ehesten entspricht (aber nicht kleiner ist, z. B. bei einer Dosis von 0,8 ml eine Applikationsspritze für 1 ml verwenden).



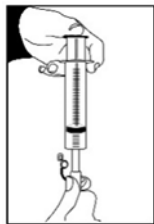
5. Klopfen Sie auf die Applikationsspritze, um Luftblasen zu entfernen, und vergewissern Sie sich, dass Sie die richtige Flüssigkeitsmenge eingefüllt haben.



6. Schlucken Sie die Flüssigkeit aus der Applikationsspritze, oder schließen Sie die Applikationsspritze an eine nasogastrale Sonde oder die Gastrostomiesonde an.



7. **Wichtiger Hinweis:** Geben oder rühren Sie RAVICTI nicht in größere Flüssigkeitsvolumen wie Wasser oder Saft, da RAVICTI schwerer als die meisten Flüssigkeiten ist. Wenn RAVICTI mit großen Flüssigkeitsvolumen gemischt wird, besteht das Risiko, dass Sie nicht die gesamte Dosis einnehmen.
8. RAVICTI kann zu einer geringen Menge weicher Nahrung zugegeben werden, z. B. Ketchup, medizinische Zubereitungen, Apfelmus oder Kürbispüree.
9. Wenn das Volumen Ihrer Applikationsspritze geringer ist als Ihre verschriebene Dosis, müssen Sie diese Schritte wiederholen, um Ihre volle Dosis zu erhalten. Verwenden Sie eine Applikationsspritze für alle am jeweiligen Tag eingenommenen Dosen.
10. Nachdem Sie Ihre volle Dosis genommen haben, trinken Sie etwas Wasser, um sicherzustellen, dass kein Arzneimittel in Ihrem Mund bleibt, oder spülen Sie die nasogastrale oder Gastrostomiesonde mit 10 ml Wasser und benutzen Sie dafür eine neue Applikationsspritze. Die zum Spülen der nasogastralen Sonde oder Gastrostomiesonde verwendete Applikationsspritze darf nicht zum Abmessen einer Dosis RAVICTI verwendet werden, um zu verhindern, dass Wasser in das Arzneimittel gelangt.



11. Verschließen Sie die Flasche, indem Sie die Kappe aufsetzen und zudrehen.



12. **Wichtiger Hinweis:** Spülen Sie die Applikationsspritze zwischen den täglichen Dosen nicht, da die Zugabe von Wasser dazu führt, dass RAVICTI abgebaut wird. Wenn RAVICTI in Kontakt mit Wasser kommt, wird die Flüssigkeit trüb. Bewahren Sie die Flasche und die Applikationsspritze zwischen den Dosen an einem sauberen, trockenen Ort auf.
13. Nach der letzten Dosis des Tages die Applikationsspritze entsorgen. Verwenden Sie die Applikationsspritze nicht an einem anderen Tag weiter, um eine Dosis RAVICTI abzumessen.
14. Übriggebliebene, nicht gebrauchte Spritzen sollten aufbewahrt und mit einer weiteren Flasche verwendet werden. Jede Flasche sollte nach 14 Tagen entsorgt werden.

### Wenn Sie eine größere Menge von RAVICTI eingenommen haben, als Sie sollten

Wenn Sie mehr von diesem Arzneimittel eingenommen haben, als Sie sollten, sprechen Sie mit einem Arzt.

Wenn Sie eines der folgenden Zeichen bemerken, sprechen Sie mit einem Arzt oder gehen Sie direkt ins Krankenhaus, da es sich um Zeichen einer Überdosierung oder eines hohen Ammoniakspiegels handeln kann:

- Schläfrigkeit, Müdigkeit, Schwindel oder manchmal Verwirrtheit
- Kopfschmerzen

- Geschmacksveränderungen
- Hörprobleme
- Desorientiertheit
- Vergesslichkeit
- Bestehende neurologische Erkrankungen können sich verschlimmern

#### **Wenn Sie die Einnahme von RAVICTI vergessen haben**

Wenn Sie eine Dosis vergessen haben, nehmen Sie die vergessene Dosis ein, sobald Sie daran denken. Für Erwachsene gilt jedoch, wenn die nächste Dosis in weniger als 2 Stunden zu nehmen ist, lassen Sie sie aus und nehmen Sie Ihre nächste Dosis normal ein.

Für Kinder: Wenn die nächste Dosis in weniger als 30 Minuten zu nehmen ist, lassen Sie sie aus und geben Sie die nächste Dosis wie üblich.

- Nehmen Sie nicht die doppelte Menge ein, wenn Sie die vorherige Einnahme vergessen haben.

Wenn Sie weitere Fragen zur Anwendung dieses Arzneimittels haben, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

#### **Wenn Sie die Einnahme von RAVICTI abbrechen**

Sie müssen Ihr ganzes Leben dieses Arzneimittel einnehmen und eine spezielle eiweißarme Diät befolgen. Brechen Sie die Einnahme von RAVICTI nicht ab, ohne mit Ihrem Arzt zu sprechen.

### **4. Welche Nebenwirkungen sind möglich?**

Wie alle Arzneimittel kann auch dieses Arzneimittel Nebenwirkungen haben, die aber nicht bei jedem auftreten müssen.

Informieren Sie Ihren Arzt oder Apotheker, wenn Sie eine der folgenden Nebenwirkungen bemerken. Die folgenden Nebenwirkungen können bei diesem Arzneimittel auftreten:

**Häufig:** kann bis zu 1 von 10 Behandelten betreffen

- Geblähter oder schmerzender Magen, Obstipation, Durchfall, Sodbrennen, Blähungen, Erbrechen, Krankheitsgefühl (Übelkeit), Schmerzen im Mund, Aufstoßen
- Schwellung von Händen oder Füßen, Müdigkeit
- Schwindel, Kopfschmerzen oder Zittern
- Verminderter oder vermehrter Appetit
- Abneigung gegen bestimmte Nahrungsmittel
- Zwischenblutungen
- Akne, die Haut riecht abnormal
- Tests zeigen erhöhte Leberenzym Spiegel, Ungleichgewicht der Salze im Blut, niedrige Spiegel eines Typs der weißen Blutkörperchen (Lymphozyten) oder niedrige Spiegel von Vitamin D

**Gelegentlich:** kann bis zu 1 von 100 Behandelten betreffen

- Mundtrockenheit,
- Aufstoßen, Magenschmerzen oder -beschwerden, Veränderungen Ihres Stuhls, z. B. öliger Stuhl, Stuhldrang, Schmerzen beim Stuhlgang, Entzündung des Mundes und der Lippen
- Hungergefühl
- Erhöhte Temperatur
- Hitzewallungen
- Schmerzen der Gallenblase
- Schmerzen der Harnblase
- Rückenschmerzen, Gelenkschwellung, Muskelspasmen, Schmerzen in Armen oder Beinen, Fersensporn
- Viraler Infekt im Darm
- Kribbeln und Stechen, starkes Unruhegefühl, Schläfrigkeit, Sprachprobleme, Verwirrtheit, Depression, Geschmacksveränderungen
- Unterbrechung oder unregelmäßige Menstruation

- Stimmstörung, Nasenbluten, verstopfte Nase, wunder oder schmerzender Rachen
- Haarausfall, übermäßiges Schwitzen, juckender Hautausschlag
- unregelmäßiger Herzschlag
- herabgesetzte Schilddrüsenfunktion
- Gewichtsverlust oder Gewichtszunahme
- Tests zeigen höhere oder niedrigere Kaliumwerte in Ihrem Blut
- Tests zeigen höhere Triglyceridwerte, mehr Lipoprotein mit niedriger Dichte oder weiße Blutkörperchen in Ihrem Blut
- Tests zeigen ein auffälliges EKG (Elektrokardiogramm)
- Tests zeigen eine verlängerte Prothrombinzeit
- Tests zeigen niedriges Albumin in Ihrem Blut

#### **Nebenwirkungen bei Kindern im Alter von unter 2 Monaten**

Die folgenden Nebenwirkungen wurden in einer klinischen Studie mit 16 Patienten im Alter von unter 2 Monaten beobachtet:

- Durchfall, Verstopfung, Blähungen, Zurückfließen von Mageninhalt in die Speiseröhre, unzureichende Nahrungsaufnahme
- Hautausschlag
- Verringerte Zahl von roten Blutkörperchen
- Erhöhte Zahl von Blutplättchen (kann zu Blutgerinnseln führen)
- Erhöhte Leberenzym Spiegel
- Verminderte Aminosäurespiegel

#### **Nebenwirkungen bei Kindern im Alter von 2 Monaten bis unter 2 Jahren**

- Durchfall, Verstopfung
- Ekzem, Bildung von Nagelrillen, Hautausschlag

#### **Meldung von Nebenwirkungen**

Wenn Sie Nebenwirkungen bemerken, wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker. Dies gilt auch für Nebenwirkungen, die nicht in dieser Packungsbeilage angegeben sind. Sie können Nebenwirkungen auch direkt über [das in Anhang V aufgeführte nationale Meldesystem](#) anzeigen. Indem Sie Nebenwirkungen melden, können Sie dazu beitragen, dass mehr Informationen über die Sicherheit dieses Arzneimittels zur Verfügung gestellt werden.

### **5. Wie ist RAVICTI aufzubewahren?**

Bewahren Sie dieses Arzneimittel für Kinder unzugänglich auf.

Sie dürfen dieses Arzneimittel nach dem auf dem Umkarton und dem Flaschenetikett nach „verwendbar bis“ angegebenen Verfalldatum nicht mehr verwenden. Das Verfalldatum bezieht sich auf den letzten Tag des angegebenen Monats.

Für dieses Arzneimittel sind keine besonderen Lagerungsbedingungen erforderlich. Nachdem die Flasche geöffnet wurde, müssen Sie Ihr Arzneimittel innerhalb von 14 Tagen verwenden. Die Flasche sollte entsorgt werden, auch wenn sie nicht leer ist.

Entsorgen Sie Arzneimittel nicht im Abwasser oder Haushaltsabfall. Fragen Sie Ihren Apotheker, wie das Arzneimittel zu entsorgen ist, wenn Sie es nicht mehr verwenden. Sie tragen damit zum Schutz der Umwelt bei.

### **6. Inhalt der Packung und weitere Informationen**

#### **Was RAVICTI enthält**

- Der Wirkstoff ist Glycerolphenylbutyrat.

- Jeder ml Flüssigkeit enthält 1,1 g Glycerolphenylbutyrat. Dies entspricht einer Dichte von 1,1 g/ml.
- Es gibt keine sonstigen Bestandteile.

#### **Wie RAVICTI aussieht und Inhalt der Packung**

Die Flüssigkeit ist in eine klare 25-ml-Glasflasche gefüllt und mit einem kindergesicherten Kunststoffdeckel versehen.

Um eine sachgemäße Dosisgabe von RAVICTI sicherzustellen, können Applikationsspritzen für Zubereitungen zum Einnehmen mit CE-Kennzeichnung in einer für die Dosis geeigneten Größe, die mit dem Spritzeneinsatz kompatibel sind, aus der Apotheke besorgt werden. Fragen Sie Ihren Arzt oder Apotheker, welche Sorte Spritzen Sie für Ihr Dosisvolumen benötigen.

#### **Pharmazeutischer Unternehmer**

Immedica Pharma AB  
SE-113 63 Stockholm  
Schweden

#### **Hersteller**

Unimedic AB  
Storjordenvägen 2  
SE-864 31 Matfors  
Schweden

**Diese Packungsbeilage wurde zuletzt überarbeitet im**

#### **Weitere Informationsquellen**

Ausführliche Informationen zu diesem Arzneimittel sind auf den Internetseiten der Europäischen Arzneimittel-Agentur <http://www.ema.europa.eu> verfügbar. Sie finden dort auch Links zu anderen Internetseiten über seltene Erkrankungen und Behandlungen.