



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371428/2015
EMA/H/C/000125

Περίληψη EPAR για το κοινό

Cystagon

μερκαπταμίνη

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Cystagon. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε το φάρμακο προτού διατυπώσει τη θετική της γνώμη για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, καθώς και τις συστάσεις της σχετικά με τους όρους χρήσης του Cystagon.

Τι είναι το Cystagon;

Το Cystagon είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία μερκαπταμίνη (επίσης γνωστή ως κυστεαμίνη). Διατίθεται σε μορφή καψακίων (50 και 150 mg).

Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Cystagon;

Το Cystagon χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών που πάσχουν από νεφροπαθή κυστίωση. Η κυστίωση είναι μια σπάνια κληρονομική διαταραχή κατά την οποία υπερβολική ποσότητα κυστίνης (αμινοξύ που υπάρχει φυσιολογικά στο σώμα) συσσωρεύεται στα κύτταρα, ιδίως στα νεφρά και στους οφθαλμούς, και τα καταστρέφει.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.

Πώς χρησιμοποιείται το Cystagon;

Η θεραπεία με Cystagon πρέπει να ξεκινήσει από γιατρό που έχει εμπειρία στη θεραπεία της κυστίωσης.

Τα επίπεδα κυστίνης στα λευκά αιμοσφαίρια πρέπει να παρακολουθούνται με στόχο τη ρύθμιση τη δόσης.

Για παιδιά έως 12 ετών, η συνιστώμενη ημερήσια δόση υπολογίζεται σύμφωνα με την επιφάνεια σώματος (υπολογισμένη βάσει του ύψους και του βάρους του ασθενούς) σε 1,30 g ανά m², διαιρούμενη σε 4 δόσεις. Για ασθενείς πάνω από 12 ετών και με βάρος πάνω από 50 kg, η συνιστώμενη ημερήσια δόση είναι 2 g διαιρούμενη σε 4 δόσεις. Οι αρχικές δόσεις πρέπει να είναι το 1/4 έως 1/6 της αναμενόμενης τελικής δόσης. Η αρχική δόση πρέπει να αυξάνεται σταδιακά κατά τη διάρκεια 4-6 εβδομάδων. Η μέγιστη



δόση δεν πρέπει ποτέ να υπερβαίνει τα 1,95 g ανά m² την ημέρα. Για περισσότερες πληροφορίες, ανατρέξτε στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Πώς δρα το Cystagon;

Η δραστική ουσία του Cystagon, η μερκαπταμίνη, αντιδρά με την κυστίνη και σχηματίζει ένα άλλο αμινοξύ, την κυστεΐνη, και μία ένωση που ονομάζεται άλας κυστεΐνης-κυστεαμίνης. Ο οργανισμός έχει τη δυνατότητα να αποβάλλει το άλας αυτό από τα κύτταρα. Έτσι το επίπεδο κυστίνης στα όργανα μειώνεται και αυτό περιορίζει τη βλάβη σε αυτά τα όργανα.

Πώς μελετήθηκε το Cystagon;

Το Cystagon διερευνήθηκε σε τρεις κύριες κλινικές μελέτες που διήρκεσαν 12 έτη και στις οποίες συμμετείχαν 234 ασθενείς. Οι μελέτες αυτές περιλάμβαναν παιδιά και ασθενείς που είχαν ξεκινήσει πρόσφατα θεραπεία. Στους ασθενείς χορηγήθηκαν δύο διαφορετικές δόσεις. Επειδή η ασθένεια αυτή είναι πολύ σοβαρή, δεν ήταν δυνατή για δεοντολογικούς λόγους η σύγκριση του Cystagon απευθείας με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Αντίθετα, η σύγκριση έγινε με μία ομάδα ασθενών που είχαν ακολουθήσει εικονική θεραπεία στο πλαίσιο άλλης, μη σχετικής δοκιμής. Οι μελέτες εξέτασαν τη λειτουργία των νεφρών, το ποσοστό επιβίωσης και ανάπτυξης των ασθενών.

Ποιο είναι το όφελος του Cystagon σύμφωνα με τις μελέτες;

Οι τρεις μελέτες κατέδειξαν ότι το Cystagon καθυστερεί τα προβλήματα στα νεφρά και την ανάγκη αιμοκάθαρσης ή μεταμόσχευσης νεφρών όταν η θεραπεία ξεκινά σε νεαρή ηλικία. Βελτιώνει επίσης το ποσοστό επιβίωσης και ανάπτυξης στα παιδιά που ακολουθούν τη θεραπεία.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Cystagon;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Cystagon (εμφανίζονται σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι απώλεια της όρεξης, έμετος, ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), διάρροια, λήθαργος (έλλειψη ενέργειας) και πυρετός. Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Cystagon περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Cystagon δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που μπορεί να παρουσιάσουν υπερευαισθησία (αλλεργία) στην κυστεαμίνη ή σε οποιοδήποτε από τα συστατικά του φαρμάκου ή σε ένα άλλο φάρμακο, στην πενικιλλαμίνη. Το φάρμακο δεν πρέπει να χορηγείται σε γυναίκες που θηλάζουν ή είναι έγκυες (ιδίως το πρώτο τρίμηνο) εκτός εάν είναι απολύτως απαραίτητο.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Cystagon;

Η κυστίνωση είναι μια σπάνια, θανατηφόρος ασθένεια και το CYSTAGON θεωρείται χρήσιμο φάρμακο για την εν λόγω ασθένεια. Η CHMP έκρινε ότι τα οφέλη του Cystagon υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο.

Λοιπές πληροφορίες για το Cystagon:

Στις 23 Ιουνίου 1997, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Cystagon.

Η πλήρης EPAR του Cystagon διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Cystagon, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 07-2013.