



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371441/2015
EMA/H/C/000125

Resumo do EPAR destinado ao público

Cystagon

mercaptamina

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Cystagon. O seu objetivo é explicar o modo como o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) avaliou o medicamento a fim de emitir um parecer favorável à concessão de uma Autorização de Introdução no Mercado, bem como as suas recomendações sobre as condições de utilização do Cystagon.

O que é o Cystagon?

O Cystagon é um medicamento que contém a substância ativa mercaptamina (também conhecida por cisteamina). Está disponível sob a forma de cápsulas (50 e 150 mg).

Para que é utilizado o Cystagon?

O Cystagon é utilizado para o tratamento de doentes com cistinose nefropática (rins). A cistinose é uma doença hereditária rara na qual quantidades excessivas de cistina, um aminoácido naturalmente encontrado no organismo, se acumulam no interior das células, especialmente nos rins e nos olhos, danificando-os.

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica.

Como se utiliza o Cystagon?

O tratamento com o Cystagon deve ser iniciado por um médico com experiência no tratamento da cistinose.

Os níveis de cistina nos glóbulos brancos devem ser monitorizados e utilizados para ajustar a dose.

Nas crianças até 12 anos de idade, a dose diária recomendada é calculada de acordo com a área de superfície corporal (a qual é calculada em função da altura e do peso do doente), que é de 1,30 g por m², dividida em 4 doses. Para os doentes com mais de 12 anos de idade e mais de 50 kg de peso, a dose recomendada é de 2 g/dia, dividida em 4 doses. As doses iniciais devem ser de um quarto a um



sexto das doses finais previstas. A dose inicial deve ser gradualmente aumentada ao longo de 4 a 6 semanas. A dose máxima não deverá nunca exceder 1,95/m²/dia. Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

Como funciona o Cystagon?

A substância ativa do Cystagon, a mercaptamina, reage com a cistina para formar outro aminoácido denominado cisteína, e um composto denominado sal de cisteína-cisteamina. O organismo consegue eliminar este sal das células. A quantidade de cistina nos órgãos diminui, limitando, assim, as lesões causadas nestes órgãos.

Como foi estudado o Cystagon?

O Cystagon foi investigado em três estudos principais que incluíram 234 doentes ao longo de um período de 12 anos. Estes estudos incluíram crianças e doentes recentemente recrutados nos quais foram testadas duas doses diferentes. Na medida em que se trata de uma doença muito grave, não foi possível, por questões éticas, comparar o Cystagon diretamente com um placebo (tratamento simulado). Em vez disso, a comparação foi levada a cabo com um grupo de doentes que tinham sido tratados com um tratamento simulado como parte de outro ensaio não relacionado. Os estudos analisaram a função renal, a sobrevida e a taxa de crescimento dos doentes.

Qual o benefício demonstrado pelo Cystagon durante os estudos?

Os três estudos realizados mostraram que o Cystagon retarda a ocorrência de problemas renais e a necessidade de diálise ou transplante renal quando o tratamento é iniciado nos primeiros anos de vida. Também melhora a taxa de sobrevida e a taxa de crescimento nas crianças tratadas.

Qual é o risco associado ao Cystagon?

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Cystagon (observados em mais de 1 a 10 doentes) são perda de apetite, vômitos, náuseas (enjoos), diarreia, letargia (falta de energia) e pirexia (febre). Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente ao Cystagon, consulte o Folheto Informativo.

O Cystagon é contraindicado em pessoas hipersensíveis (alérgicas) à cisteamina, a qualquer outro componente do medicamento, a qualquer outro componente ou a outro medicamento designado penicilamina. É contraindicado em mulheres lactantes ou grávidas (em especial durante o primeiro trimestre de gravidez), exceto em caso de absoluta necessidade.

Por que foi aprovado o Cystagon?

A cistinose é uma doença rara e fatal e Cystagon é considerado um medicamento útil para esta doença. O CHMP concluiu que os benefícios do Cystagon são superiores aos seus riscos e recomendou a concessão de uma autorização de introdução no mercado para o medicamento.

Outras informações sobre o Cystagon

Em 23 de junho de 1997, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Cystagon.

O EPAR completo sobre o Cystagon pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mais informações sobre o tratamento com o Cystagon, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 07-2013.