



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371426/2015
EMA/H/C/000125

EPAR - Sammendrag for offentligheden

Cystagon

mercaptamine

Dette er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Cystagon. Det forklarer, hvordan Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) vurderede lægemidlet og nåede frem til sin udtalelse til fordel for udstedelse af en markedsføringstilladelse og til sine anbefalinger om anvendelsesbetingelserne for Cystagon.

Hvad er Cystagon?

Cystagon er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof mercaptamine (også kendt som cysteamin). Det fås som kapsler (50 og 150 mg).

Hvad anvendes Cystagon til?

Cystagon anvendes til behandling af patienter, som lider af nefropatisk cystinose. Cystinose er en sjælden, arvelig sygdom, ved hvilken der ophobes cystin (en aminosyre, der findes naturligt i kroppen) i kroppens celler, især i nyrene og øjnene, hvorved cellerne beskadiges.

Lægemidlet udleveres kun efter recept.

Hvordan anvendes Cystagon?

Behandling med Cystagon bør påbegyndes af en læge med erfaring i behandling af cystinose.

Cystinniveauet i de hvide blodceller bør overvåges for at bestemme den nødvendige dosering.

For børn under 12 år beregnes den anbefalede daglige dosis ud fra legemsoverfladen (dvs. patientens højde og vægt), som 1,30 g per m² fordelt på 4 doser. For patienter over 12 år, som vejer mere end 50 kg, er den anbefalede daglige dosis 2 g fordelt på 4 doser. Startdoser bør være på mellem en sjettedel og en fjerdedel af de endeligt forventede doser. Startdosis bør øges gradvist over 4-6 uger. Maksimaldosen bør aldrig overstige 1,95 g per m² per dag. De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu **Website** www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



Hvordan virker Cystagon?

Det aktive stof i Cystagon, mercaptamin, reagerer med cystin og danner en ny aminosyre kaldet cystein, og en forbindelse, der kaldes en cystein-cysteaminsalt. Kroppen er i stand til at fjerne denne salt fra cellerne. Mængden af cystin i organerne mindskes således, hvilket begrænser skaden på disse organer.

Hvordan blev Cystagon undersøgt?

Cystagon er blevet analyseret i tre hovedundersøgelser, der omfattede 234 patienter over en 12-årig periode. Undersøgelserne omfattede børn og nyligt indkaldte patienter, som modtog to forskellige doser. Da sygdommen er meget alvorlig, var det af etiske grunde ikke muligt at fortage en direkte sammenligning mellem Cystagon og placebo (en uvirksom behandling). Sammenligningen blev i stedet foretaget med en anden gruppe patienter, som havde modtaget en placebobehandling som del af en anden, ikke-tilknyttet undersøgelse. I undersøgelserne blev der fokuseret på nyrefunktionen, overlevelsesprocenten og væksten hos patienterne.

Hvilken fordel viser undersøgelserne, at der er ved Cystagon?

De tre undersøgelser viste, at Cystagon forsinker nyreproblemer og behovet for dialyse eller nyretransplantation, når behandlingen påbegyndes i en tidlig alder. Det forbedrer også overlevelsesprocenten og væksten hos de børn, der blev behandlet.

Hvilken risiko er der forbundet med Cystagon?

De mest almindelige bivirkninger ved Cystagon (som ses hos flere end 1 ud af 10 patienter) er appetitløshed, kvalme, opkastning, diarré, udmattelse og feber. Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger ved Cystagon fremgår af indlægssedlen.

Cystagon må ikke anvendes hos personer, som er overfølsomme (allergiske) over for cysteamin, andre af indholdsstofferne eller et andet lægemiddel, som kaldes penicillamin. Det må heller ikke anvendes hos kvinder, der ammer, eller som er gravide (især i løbet af de første tre måneder), medmindre dette er absolut nødvendigt.

Hvorfor blev Cystagon godkendt?

Cystanose er en meget sjælden og livstruende sygdom, og Cystagon anses for at være et brugbart lægemiddel mod denne sygdom. CHMP besluttede, at fordelene ved Cystagon opvejer risiciene, og anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse.

Andre oplysninger om Cystagon:

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Cystagon den 23. juni 1997.

Den fuldstændige EPAR for Cystagon findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Cystagon, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 07-2013.