



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371427/2015
EMA/H/C/000125

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Cystagon

Mercaptamin

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Cystagon. Hierin wird erläutert wie der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) das Arzneimittel beurteilt hat, um zu seinem befürwortenden Gutachten zur Erteilung der Genehmigung für das Inverkehrbringen und seinen Empfehlungen zu den Anwendungsbedingungen für Cystagon zu gelangen.

Was ist Cystagon?

Cystagon ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Mercaptamin (auch als Cysteamin bekannt) enthält. Es ist als Kapseln (50 mg und 150 mg) erhältlich.

Wofür wird Cystagon angewendet?

Cystagon wird zur Behandlung von Patienten mit nephropathischer Cystinose (Erkrankung der Niere) angewendet. Cystinose ist eine seltene vererbte Krankheit, bei der sich übermäßige Mengen von Cystin, einer natürlich im Körper vorkommenden Aminosäure, in den Zellen aufbauen, insbesondere in den Nieren und Augen, und diese schädigen.

Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.

Wie wird Cystagon angewendet?

Die Behandlung mit Cystagon sollte von einem Arzt eingeleitet werden, der Erfahrung in der Behandlung von Cystinose besitzt.

Die Cystin-Konzentrationen in den weißen Blutkörperchen müssen überwacht, und die Dosis muss entsprechend angepasst werden.

Bei Kindern im Alter bis zu 12 Jahren wird die empfohlene tägliche Dosis nach der Körperoberfläche berechnet (die wiederum aus der Körpergröße und dem Körpergewicht des Patienten berechnet wird) und beträgt 1,30 g pro m^2 verteilt auf vier Dosen. Bei Patienten über 12 Jahren und einem



Körpergewicht von über 50 kg beträgt die empfohlene tägliche Dosis 2 g verteilt auf vier Dosen. Die Anfangsdosen sollten ein Viertel bis zu ein Sechstel der endgültigen erwarteten Dosen betragen. Die Anfangsdosen sollten schrittweise innerhalb von 4 bis 6 Wochen erhöht werden. Die tägliche Höchstdosis sollte niemals 1,95 g pro m^2 übersteigen. Nähere Informationen sind der Packungsbeilage zu entnehmen.

Wie wirkt Cystagon?

Der Wirkstoff in Cystagon, Mercaptamin, reagiert mit Cystin und bildet eine weitere Aminosäure, das sogenannte Cystein, sowie eine Verbindung, das sogenannte Cystein-Cysteamin-Salz. Der Körper kann dieses Salz aus den Zellen eliminieren. Die Menge von Cystin in den Organen wird deshalb verringert und infolgedessen die Schädigung dieser Organe begrenzt.

Wie wurde Cystagon untersucht?

Cystagon wurde in drei Hauptstudien mit 234 Patienten über einen Zeitraum von 12 Jahren untersucht. Diese Studien umfassten Kinder und neu rekrutierte Patienten, an denen zwei verschiedene Dosierungen erprobt wurden. Da es sich bei Cystinose um eine sehr schwere Krankheit handelt, war es aus ethischen Gründen nicht möglich, Cystagon unmittelbar mit Placebo (einer Scheinbehandlung) zu vergleichen. Der Vergleich wurde stattdessen mit einer Gruppe von Patienten durchgeführt, die im Rahmen einer anderen, nicht verwandten Studie eine Scheinbehandlung erhalten hatten. In den Studien wurden die Nierenfunktion sowie die Überlebens- und Wachstumsrate der Patienten untersucht.

Welchen Nutzen hat Cystagon in diesen Studien gezeigt?

Die drei Studien haben gezeigt, dass Cystagon das Auftreten von Nierenproblemen und die Notwendigkeit einer Dialyse bzw. einer Nierentransplantation verzögert, wenn die Behandlung in einem frühen Alter beginnt. Zudem sind verbesserte Überlebens- und Wachstumsraten bei den behandelten Kindern festzustellen.

Welches Risiko ist mit Cystagon verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Cystagon (beobachtet bei mehr als 1 von 10 Patienten) sind Appetitlosigkeit, Erbrechen, Nausea (Übelkeit), Durchfall, Lethargie (Energiemangel) und Pyrexie (Fieber). Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Cystagon berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Cystagon darf nicht bei Patienten angewendet werden, die überempfindlich (allergisch) gegen Cysteamin oder einen der sonstigen Bestandteile oder gegen ein anderes Arzneimittel, das sogenannte Penicillamin, sind. Es darf auch nicht bei Frauen angewendet werden, die stillen oder schwanger sind (insbesondere während der ersten drei Monate), es sei denn, die Behandlung ist unbedingt erforderlich.

Warum wurde Cystagon zugelassen?

Cystinose ist eine seltene, tödliche Krankheit, und Cystagon wird als hilfreiches Arzneimittel für diese Krankheit erachtet. Der CHMP gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Cystagon gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, die Genehmigung für das Inverkehrbringen zu erteilen.

Weitere Informationen über Cystagon

Am 23. Juni 1997 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Cystagon in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Cystagon finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Cystagon benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 07-2013 aktualisiert.