



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371433/2015
EMA/H/C/000125

Résumé EPAR à l'intention du public

Cystagon

mercaptopamine

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Cystagon. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle le comité des médicaments à usage humain (CHMP) a procédé l'a conduit à rendre un avis favorable à l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché et à établir ses recommandations relatives aux conditions d'utilisation de Cystagon.

Qu'est-ce que Cystagon?

Cystagon est un médicament qui contient le principe actif mercaptopamine (aussi connue sous le nom de cystéamine). Il est disponible en gélules (50 mg et 150 mg).

Dans quel cas Cystagon est-il utilisé?

Cystagon est utilisé chez les patients atteints de cystinose néphropathique (reins). La cystinose est une maladie héréditaire grave caractérisée par des quantités excessives de cystine, un acide aminé présent naturellement dans le corps, qui s'accumulent dans les cellules, en particulier dans les reins et les yeux, et y provoquent des lésions.

Le médicament n'est délivré que sur ordonnance.

Comment Cystagon est-il utilisé?

Le traitement au Cystagon doit être instauré par un médecin ayant l'expérience du traitement de la cystinose.

Les taux de cystine dans les globules blancs doivent être surveillés de manière à ajuster la posologie.

Pour les enfants âgés de 12 ans au plus, la dose quotidienne recommandée est définie en fonction de la surface corporelle (calculée à partir de la taille et du poids du patient), soit une dose de 1,30 g/m² répartie en 4 prises. Pour les patients âgés de plus de 12 ans et pesant plus de 50 kg, la dose quotidienne recommandée est de 2 g, répartie en 4 prises. Les doses initiales doivent être comprises



entre un quart et un sixième des doses finales attendues. La dose initiale doit être augmentée progressivement sur une période de 4 à 6 semaines. La dose maximale ne doit jamais dépasser 1,95 g par m² par jour. Pour plus d'informations, voir la notice.

Comment Cystagon agit-t-il?

Le principe actif de Cystagon, la mercaptamine, réagit avec la cystine pour former un autre acide aminé, appelé cystéine, ainsi qu'un composé appelé sel de cystéamine et cystéine. Le corps est capable d'éliminer ce sel des cellules. La quantité de cystine dans les organes en est ainsi réduite, ce qui limite les lésions sur ces organes.

Quelles études ont été menées sur Cystagon?

Cystagon a fait l'objet de trois études principales auprès de 234 patients sur une période de 12 ans. Ces études comprenaient des enfants et de nouveaux patients chez lesquels deux doses différentes ont été testées. Compte tenu de la gravité de la maladie, il n'a pas été possible, pour des raisons éthiques, de comparer Cystagon directement à un placebo (traitement fictif). Au lieu de cela, la comparaison a été réalisée avec un groupe de patients qui avaient suivi un traitement placebo dans le cadre d'une étude indépendante. Les études portaient sur la fonction rénale, les taux de survie et de croissance des patients.

Quel est le bénéfice démontré par Cystagon au cours des études?

Les trois études ont démontré que Cystagon retarde les dysfonctionnements rénaux et la nécessité de recourir à une dialyse ou à une transplantation rénale lorsque le traitement est commencé à un âge précoce. Il améliore également les taux de survie et de croissance chez les enfants traités.

Quel est le risque associé à l'utilisation de Cystagon?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Cystagon (chez plus d'1 patient sur 10) sont les suivants: perte d'appétit, vomissements, nausées (sensation de malaise), diarrhée, léthargie (manque d'énergie) et pyrexie (fièvre). Pour une description complète des effets indésirables observés sous Cystagon, voir la notice.

Cystagon ne doit pas être utilisé chez les personnes présentant une hypersensibilité (allergie) à la cystéamine ou à l'un des autres composants, ou à un autre médicament appelé pénicillamine. Il ne doit pas non plus être utilisé chez les femmes qui allaitent ou sont enceintes (en particulier au cours des trois premiers mois), sauf en cas de nécessité évidente.

Pourquoi Cystagon a-t-il été approuvé?

La cystinose est une maladie rare et mortelle, et Cystagon est considéré comme un médicament utile pour traiter cette maladie. Le CHMP a estimé que les bénéfices de Cystagon sont supérieurs à ses risques et a recommandé l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour ce médicament.

Autres informations relatives à Cystagon:

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union Européenne pour Cystagon, le 23 juin 1997.

L'EPAR complet relatif à Cystagon est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pour plus d'informations sur le traitement par Cystagon, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Dernière mise à jour du présent résumé: 07-2013.