



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371442/2015
EMA/H/C/000125

Rezumat EPAR destinat publicului

Cystagon

mercaptamină

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Cystagon. Documentul explică modul în care Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a evaluat medicamentul, pentru a emite avizul în favoarea acordării autorizației de introducere pe piață și recomandările privind condițiile de utilizare pentru Cystagon.

Ce este Cystagon?

Cystagon este un medicament care conține substanța activă mercaptamină (cunoscută, de asemenea, sub denumirea de cisteamină). Este disponibil sub formă de capsule (50 și 150 mg).

Pentru ce se utilizează Cystagon?

Cystagon se utilizează la pacienții care suferă de cistinoză nefropatică (renală). Cistinoza este o boală ereditară rară caracterizată prin acumularea unor cantități excesive de cistină (un aminoacid care se găsește în mod natural în organism) în celule, în special la nivelul rinichilor și ochilor, ceea ce conduce la deteriorarea lor.

Medicamentul se poate obține numai pe bază de rețetă.

Cum se utilizează Cystagon?

Tratamentul cu Cystagon trebuie inițiat de către un medic cu experiență în tratamentul cistinozei.

Nivelurile de cistină din globulele albe trebuie monitorizate și utilizate în scopul ajustării dozei.

Pentru copiii cu vârste sub 12 ani, doza zilnică recomandată se calculează în funcție de suprafața corporală (care se calculează pornind de la înălțimea și greutatea pacientului) și este de 1,30 g/m², fiind împărțită în 4 doze. Pentru pacienții cu vârste de peste 12 ani și care cântăresc mai mult de 50 kg, doza zilnică recomandată este de 2 g, fiind împărțită în 4 doze. Dozele inițiale trebuie să fie de un sfert până la o șesime din dozele finale preconizate. Doza cu care se începe tratamentul trebuie



crescută treptat pe parcursul a 4 până la 6 săptămâni. Doza maximă nu trebuie să depășească niciodată 1,95g/m² pe zi. Pentru mai multe informații, consultați prospectul.

Cum acționează Cystagon?

Substanța activă din Cystagon, mercaptamina, intră în reacție cu cistina pentru a forma un alt aminoacid numit cisteină și un compus numit sare de cisteină-cisteamină. Organismul este capabil să elimine această sare din celule. Astfel, se reduce cantitatea de cistină din organe, ceea ce limitează deteriorarea lor.

Cum a fost studiat Cystagon?

Cystagon a fost evaluat în trei studii clinice principale care au implicat 234 de pacienți pe o perioadă de 12 ani. Aceste studii au inclus copii și pacienți nou recrutați la care s-au testat două doze diferite. Deoarece boala este deosebit de severă, nu a fost posibil, din motive etice, să se compare în mod direct Cystagon cu placebo (un preparat inactiv). În schimb, comparația a fost efectuată cu un grup de pacienți care fuseseră tratați cu un preparat inactiv în cadrul unui alt studiu, fără legătură cu Cystagon. Studiile au evaluat funcția renală, ratele de supraviețuire și de creștere ale pacienților.

Ce beneficii a prezentat Cystagon pe parcursul studiilor?

Cele trei studii au demonstrat faptul că Cystagon întârzie apariția problemelor renale și necesitatea dializei sau a transplantului renal atunci când tratamentul este inițiat la vârste timpurii. De asemenea, medicamentul îmbunătățește ratele de supraviețuire și de creștere ale copiilor care urmează acest tratament.

Care sunt riscurile asociate cu Cystagon?

Cele mai frecvente efecte secundare asociate cu Cystagon (observate la mai mult de 1 pacient din 10) sunt lipsa poftei de mâncare, vărsături, greață, diaree, letargie (lipsă de energie) și pirexie (febră). Pentru lista completă a efectelor secundare raportate asociate cu Cystagon, consultați prospectul.

Cystagon este contraindicat la persoanele care pot fi hipersensibile (alergice) la cisteamină sau la oricare dintre celelalte ingrediente, sau la alt medicament numit penicilamină. De asemenea, Cystagon nu se administrează femeilor care alăptează sau femeilor care sunt însărcinate (în special în timpul primelor trei luni de sarcină) decât dacă această administrare este în mod clar necesară.

De ce a fost aprobat Cystagon?

Cistinoza este o boală fatală rară, iar Cystagon este considerat un medicament util pentru tratarea acesteia. CHMP a hotărât că beneficiile Cystagon sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat acordarea autorizației de introducere pe piață pentru acest produs.

Alte informații despre Cystagon

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Cystagon, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 23 iunie 1997.

EPAR-ul complet pentru Cystagon este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Cystagon, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 07-2013.