



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371443/2015
EMA/H/C/000125

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Cystagon

merkaptamín

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Cystagon. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a dospel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek Cystagon.

Čo je liek Cystagon?

Cystagon je liek obsahujúci účinnú látku merkaptamín (známy aj ako cysteamín). Je dostupný vo forme kapsúl (50 a 150 mg).

Na čo sa liek Cystagon používa?

Cystagon sa používa na liečbu pacientov, ktorí trpia nefropatickou (obličkovou) cystinózou. Cystinóza je zriedkavá dedičná choroba, pri ktorej sa hromadí cystín, čo je prirodzene sa vyskytujúca aminokyselina v tele, v bunkách, predovšetkým v obličkách a očiach, a poškodzuje ich.

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Ako sa liek Cystagon užíva?

Liečbu liekom Cystagon má začať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou cystinózy.

Hladina cystínu v bielych krvinkách sa má sledovať a použiť na úpravu dávky.

U detí vo veku do 12 rokov sa odporúčaná denná dávka vypočíta na základe veľkosti povrchu tela (v závislosti od telesnej výšky a hmotnosti pacienta), pričom sa dávka 1,3 g/m² rozdelí na 4 dávky. Pre pacientov starších ako 12 rokov a s hmotnosťou viac ako 50 kg je odporúčaná denná dávka 2 g, ktorá sa rozdelí na 4 dávky. Úvodná dávka má predstavovať jednu štvrtinu až jednu šestinú z predpokladanej konečnej dávky. Úvodná dávka sa má postupne zvyšovať v priebehu 4 až 6 týždňov. Maximálna dávka nikdy nemá prekročiť 1,95 g na m² na deň. Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.



Akým spôsobom liek Cystagon účinkuje?

Účinná látka lieku Cystagon markaptamín reaguje s cystínom, pričom vzniká iná aminokyselina nazývaná cysteín a zložka soľ cysteamínu a cysteínu. Túto soľ telo dokáže odstrániť z buniek. Množstvo cystínu v orgánoch sa tak zníži a obmedzí sa poškodenie týchto orgánov.

Ako bol liek Cystagon skúmaný?

Liek Cystagon sa skúmal v troch hlavných štúdiách s 234 pacientmi v priebehu 12 rokov. Do týchto štúdií patrili deti a novo získaní pacienti, u ktorých sa skúšali dve rôzne dávkovania. Keďže choroba je veľmi vážna, z etických dôvodov nebolo možné priamo porovnávať liečbu liekom Cystagon s placebom (zdanlivým liekom). Namiesto toho sa porovnanie urobilo so skupinou pacientov, ktorí dostávali zdanlivú liečbu v rámci inej skúšky, ktorá nesúvisela s týmito štúdiami. Štúdie sa zaoberali funkciou obličiek, prežitím a mierou rastu pacientov.

Aký prínos preukázal liek Cystagon v týchto štúdiách?

Tieto tri štúdie ukázali, že liek Cystagon odďaľuje problémy s obličkami a potrebu dialýzy alebo transplantácie obličiek, ak sa s liečbou začne v ranom veku. U liečených detí zlepšuje prežitie a mieru rastu.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Cystagon?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Cystagon (pozorované u viac ako 1 pacienta z 10) sú strata chuti do jedla, vracanie, nauzea (nevoľnosť), hnačka, apatia (nedostatok energie) a pyrexia (horúčka). Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Cystagon sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

Liek Cystagon nesmú používať osoby, ktoré sú precitlivené (alergické) na cysteamín alebo na inú zložku lieku alebo na penicilamín. Nemá sa podávať dojčiacim ani tehotným ženám (najmä počas prvých troch mesiacov tehotenstva), ak to nie je jednoznačne nevyhnutné.

Prečo bol liek Cystagon povolený?

Cystinóza je zriedkavá smrteľná choroba a liek Cystagon sa považuje za užitočný liek pri tejto chorobe. Výbor CHMP rozhodol, že prínosy lieku Cystagon sú väčšie než riziká spojené s jeho užívaním a odporučil udeliť povolenie na uvedenie na trh.

Ďalšie informácie o lieku Cystagon

Dňa 23. júna 1997 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Cystagon na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Cystagon sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Cystagon, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľov (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárničku.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 07-2013