



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/704352/2016  
EMA/H/C/000678

## Резюме на EPAR за обществено ползване

---

# Cystadane

betaine anhydrous

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Cystadane. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Cystadane.

За практическа информация относно употребата на Cystadane пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

### Какво представлява Cystadane и за какво се използва?

Cystadane е лекарство, което се използва за лечение на хомоцистинурия — наследствено заболяване, при което аминокиселината хомоцистеин не може да се разгради, което води до натрупването ѝ в организма. Това предизвиква множество симптоми като влошено зрение, отслабени кости и проблеми с кръвообращението.

Cystadane се използва заедно с други видове лечение, като витамин В6 (пиридоксин), витамин В12 (кобаламин), фолати и специален хранителен режим.

Съдържа активното вещество бетаин анхидрид (*betaine anhydrous*).

Тъй като броят на пациентите с хомоцистинурия е малък, болестта се счита за „рядка“ и Cystadane е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 9 юли 2001 г.

### Как се използва Cystadane?

Лечението със Cystadane трябва да се наблюдава от лекар с опит в лечението на пациенти с хомоцистинурия.

Cystadane се предлага под формата на прах за перорално приложение. Стандартната доза Cystadane е 100 mg на килограм телесно тегло дневно, разделена на две равни дози. Дозата може



да бъде коригирана в зависимост от повлияването от лечението (наблюдавано чрез измерване на нивото на хомоцистеин в кръвта). Целта на лечението е да се задържат нивата на хомоцистеин в кръвта под 15 микромола или възможно най-ниски. Обикновено това се постига в рамките на един месец.

Cystadane се предлага заедно с три мерителни лъжици за отмерване на 100 mg, 150 mg и 1 g от праха. Непосредствено преди прием той трябва да се разтвори напълно във вода, сок, мляко, мляко на прах или храна.

## **Как действа Cystadane?**

Бетаинът е естествено вещество, което се извлича от захарното цвекло. При хомоцистинурия бетаинът намалява нивата на хомоцистеин в кръвта, като преобразува хомоцистеина в аминокиселината метионин. Това помага за подобряване на симптомите на заболяването.

## **Какви ползи от Cystadane са установени в проучванията?**

Фирмата представи информация относно Cystadane от научната литература. Това включва 202 доклада, които описват ефектите на Cystadane, прилаган в различни дози, върху нивата на хомоцистеин при пациенти с хомоцистинурия на различна възраст. Представена е информация за 140 пациенти и техните симптоми, доза и продължителност на лечението, както и за другите приемани лекарства. Повечето пациенти приемат и витамини B6 или B12, или фолати. Информацията от тези проучвания е сравнена с публикуваните доклади, които описват последиците при нелекувани пациенти с това заболяване.

Установено е, че при пациентите, които приемат Cystadane, понижаването на нивата на хомоцистеин е по-голямо от това на нелекуваните пациенти. Това е свързано с подобрене на симптомите, засягащи сърдечносъдовата система (сърцето и кръвоносните съдове), както и с подобрене на проблемите, свързани с развитието, при приблизително три четвърти от пациентите, които приемат Cystadane. Лекарството е ефективно при пациенти и с трите вида хомоцистинурия.

## **Какви са рисковете, свързани със Cystadane?**

Най-честата нежелана лекарствена реакция при приема на Cystadane (наблюдавана при повече от 1 на 10 пациенти) е повишени нива на метионин в кръвта. При пациентите, които приемат Cystadane, трябва да се наблюдават нивата на метионин, тъй като това може да причини мозъчен оток (подуване в мозъка). Пациентите със симптоми на мозъчен оток, например сутрешно главоболие с повръщане, или с промени в зрението, трябва да се обърнат към своя лекар, тъй като е възможно да се наложи прекратяване на лечението със Cystadane.

За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции и ограничения вижте листовката.

## **Защо Cystadane е разрешен за употреба?**

Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на Агенцията реши, че въпреки малкото систематични проучвания на Cystadane лекарството е полезно като допълнение към съществуващите лечения на хомоцистинурията, например допълнителен прием на витамини и спазване на специален хранителен режим. Комитетът отбеляза, че Cystadane не е заместител на другите лечения.

Комитетът реши, че при прилагане според показанията, ползите от Cystadane превишават рисковете при адювантното лечение на хомоцистинурията. Комитетът препоръча Cystadane да бъде разрешен за употреба.

### **Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Cystadane?**

Фирмата производител на Cystadane ще направи списък на пациентите, приемащи лекарството, за да се проследи неговата безопасност. В частност, фирмата ще наблюдава случаите на мозъчен оток, наблюдаван при малък брой пациенти при изпитването на лекарствения продукт.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Cystadane, които да се спазват от здравните специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

### **Допълнителна информация за Cystadane:**

На 15 февруари 2007 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Cystadane, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR за Cystadane може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). За повече информация относно лечението със Cystadane прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Cystadane може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Дата на последно актуализиране на текста 10-2016.