



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

---

# Cystadane

betainum anhydricum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Cystadane. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Cystadane používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Cystadane, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

### Co je Cystadane a k čemu se používá?

Cystadane je léčivý přípravek používaný k léčbě homocystinurie, což je vrozené onemocnění, při němž tělo nedokáže rozložit aminokyselinu homocystein. Ta se tak v těle hromadí a vyvolává celou řadu symptomů, včetně poruch zraku, oslabení kostí a problémů oběhového systému.

Používá se jako doplněk další léčby, jako je léčba vitamínem B6 (pyridoxinem), vitamínem B12 (kobalaminem), folátem a specifickou dietou.

Přípravek Cystadane obsahuje léčivou látku bezvodý betain.

Jelikož počet pacientů s homocystinurií je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Cystadane byl dne 9. července 2001 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

### Jak se přípravek Cystadane používá?

Léčba přípravkem Cystadane by měla probíhat pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s léčbou pacientů s homocystinurií.

Přípravek Cystadane je k dispozici ve formě prášku a užívá se ústy. Standardní dávka přípravku Cystadane je 100 mg na kilogram tělesné hmotnosti denně, rozdělená do dvou stejných dávek. Dávku



Ize upravit v závislosti na reakci na léčbu (sledované měřením hladiny homocysteinu v krvi). Cílem léčby je udržet hodnoty hladiny homocysteinu v krvi pod 15 mikromoly nebo na co nejnižší úrovni. Tohoto cíle je obvykle dosaženo během jednoho měsíce.

Přípravek Cystadane se dodává se třemi odměrnými lžícemi – na 100 mg, 150 mg a 1 g prášku. Prášek by se měl nechat zcela rozpustit ve vodě, džusu, mléce, kojenecké stravě nebo potravě bezprostředně před jeho užitím.

## **Jak přípravek Cystadane působí?**

Betain je přírodní látka, která se získává z cukrové řepy. Při homocystinurii betain přeměňuje homocystein na aminokyselinu methionin a snižuje tak hladinu homocysteinu v krvi. Tím napomáhá zlepšit symptomy onemocnění.

## **Jaké přínosy přípravku Cystadane byly prokázány v průběhu studií?**

Společnost předložila informace o přípravku Cystadane získané z vědecké literatury. Zahrnovaly 202 zpráv popisujících účinky přípravku Cystadane, podávaného v různých dávkách pacientům různého věku s homocystinurií, na hladinu homocysteinu. U 140 pacientů byly poskytnuty také informace týkající se symptomů, užívané dávky, délky trvání léčby a dalších současně užívaných léků. Většina pacientů užívala současně vitamín B6 nebo B12, případně folát. Informace získané na základě těchto studií byly porovnány s publikovanými zprávami, které popisovaly výsledky u neléčených pacientů trpících tímto onemocněním.

U pacientů užívajících přípravek Cystadane podle všeho docházelo k výraznějšímu snížení hladiny homocysteinu než u neléčených pacientů. S tím souviselo zlepšení symptomů postihujících kardiovaskulární systém (srdce a krevní cévy) i zlepšení vývojových problémů přibližně u tří čtvrtin pacientů užívajících přípravek Cystadane. Léčivý přípravek byl účinný u pacientů se všemi třemi typy homocystinurie.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Cystadane?**

Nejčastějším nežádoucím účinkem přípravku Cystadane (zaznamenaným u více než 1 pacienta z 10) je zvýšená hladina methioninu v krvi. U pacientů užívajících přípravek Cystadane by proto hladina methioninu měla být sledována, jelikož může vést k otoku mozku. Pacienti s příznaky otoku mozku (například ranními bolestmi hlavy se zvracením, změnami vidění) by se měli obrátit na svého lékaře, jelikož je možné, že u nich bude nutné léčbu přípravkem Cystadane přerušit.

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení je uveden v příbalové informaci.

## **Na základě čeho byl přípravek Cystadane schválen?**

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury rozhodl, že navzdory malému počtu systematických studií přípravku Cystadane lze tento přípravek považovat za prospěšný, je-li používán jako doplněk stávající léčby homocystinurie, jako je léčba vitamíny a nasazení speciální diety. Výbor upozornil, že přípravek Cystadane nepředstavuje náhradu jiných způsobů léčby.

Výbor rozhodl, že přínosy přípravku Cystadane podávaného při podpůrné léčbě homocystinurie v souladu s indikací převyšují jeho rizika. Výbor doporučil, aby přípravku Cystadane bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

## **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Cystadane?**

Společnost, která přípravek Cystadane vyrábí, založí rejstřík pacientů užívajících tento přípravek za účelem monitorování bezpečnosti přípravku. Společnost bude sledovat zejména případy otoku mozku, jenž byl zaznamenán u malého počtu pacientů během testování přípravku.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Cystadane, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

### **Další informace o přípravku Cystadane**

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Cystadane platné v celé Evropské unii dne 15. února 2007.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Cystadane je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Další informace o léčbě přípravkem Cystadane naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Cystadane vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 10-2016.