



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/584592/2013  
EMA/H/C/002465

## Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

---

# Procysbi

## mercaptopaminum

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

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

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

Procysbi je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku merkaptopamin (rovněž známý pod názvem cysteamin). Používá se u pacientů, kteří trpí nefropatickou (postihující ledviny) cystinózou. Cystinóza je dědičné onemocnění, při němž se nadměrné množství cystinu (aminokyseliny, která se přirozeně nachází v těle) hromadí v buňkách, zejména v ledvinách a v očích, a poškozuje je.

Jelikož počet pacientů s cystinózou je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Procysbi byl dne 20. září 2010 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Přípravek Procysbi je „hybridní léčivý přípravek“. To znamená, že je obdobou „referenčního léčivého přípravku“, který obsahuje stejnou léčivou látku; přípravek Procysbi je ovšem k dispozici ve formě, která umožňuje, aby se léčivá látka v těle uvolňovala se zpožděním. Referenčním přípravkem přípravku Procysbi je přípravek Cystagon.

### Jak se přípravek Procysbi používá?

Výdej přípravku Procysbi je vázán na lékařský předpis a léčbu je třeba zahájit pod dohledem lékaře se zkušenostmi s léčbou cystinózy.

Přípravek Procysbi je k dispozici ve formě enterosolventních tobolek (25 a 75 mg). „Enterosolventní“ znamená, že obsah tobolky prochází žaludkem beze změny a rozpadá se až v tenkém střevě.



Doporučená denní dávka se vypočítává podle velikosti povrchu těla a činí 1,30 g na m<sup>2</sup>, přičemž se dělí na dvě dávky užívané po 12 hodinách. Je přitom třeba sledovat buď hladinu cystinu v bílých krvinkách (vyjádřenou v jednotkách nmol hemicystinu na mg proteinu bílých krvinek), nebo koncentraci merkaptaminu v krvi a podle nich dávku upravit; ta by však nikdy neměla překročit hodnotu 1,95 g/m<sup>2</sup> za den. Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

## **Jak přípravek Procysbi působí?**

Léčivá látka v přípravku Procysbi, merkaptamin, reaguje s cystinem, v důsledku čehož se vytváří jiná aminokyselina nazývaná cystein a sloučenina označovaná jako sůl cystein-cysteaminu. Tělo je schopno tuto sůl odstraňovat z buněk, čímž se snižuje množství cystinu v orgánech a omezuje se míra jejich poškození.

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

Bylo prokázáno, že přípravek Procysbi podávaný každých 12 hodin je z hlediska udržení množství cystinu v bílých krvinkách na přijatelné úrovni (pod hladinou 1 nmol hemicystinu na jeden miligram proteinu bílých krvinek) přinejmenším stejně účinný jako přípravek Cystagon podávaný každých 6 hodin. V hlavní studii, do které bylo zařazeno 43 pacientů s nefropatickou cystinózou, nebyl po třítýdenní léčbě oběma přípravky zjištěn mezi průměrnými hladinami cystinu v bílých krvinkách žádný významný rozdíl. Zatímco u přípravku Procysbi činila tato hodnota 0,51 nmol/mg, u přípravku Cystagon to bylo 0,44 nmol/mg.

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

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Procysbi (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou nechutenství, zvracení, nauzea (pocit nevolnosti), průjem, letargie (nedostatek energie) a pyrexie (horečka). Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Procysbi je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Procysbi nesmějí užívat osoby s přecitlivělostí (alergií) na merkaptamin v jakékoli formě nebo na kteroukoli další složku tohoto přípravku či na penicillamin. Nesmějí jej používat ani kojící ženy.

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

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury rozhodl, že přínosy přípravku Procysbi převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby byl schválen k použití v EU. Výbor CHMP považoval za prokázané, že přípravek Procysbi je při udržování množství cystinu v bílých krvinkách na přijatelné úrovni přinejmenším stejně účinný jako přípravek Cystagon. Výbor také usoudil, že díky tomu, že se enterosolventní forma podává méně často, bude snazší dodržovat léčebný režim a zlepší se kvalita života pacientů s cystinózou. Pokud jde o bezpečnost přípravku, výbor CHMP usoudil, že bezpečnostní profil merkaptaminu je dobře známý a že bezpečnost přípravku Procysbi by měla být podobná jako u referenčního léčivého přípravku.

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

K zajištění co nejbezpečnějšího používání přípravku Procysbi byl vypracován plán řízení rizik. Na základě tohoto plánu byly do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace přípravku Procysbi zahrnuty informace o bezpečnosti, včetně příslušných opatření, která by měli dodržovat zdravotničtí pracovníci a pacienti.

Mimoto společnost, která přípravek Procysbi uvádí na trh, poskytne všem lékařům, o nichž se předpokládá, že budou přípravek předepisovat, vzdělávací materiály s důležitými bezpečnostními informacemi včetně upozornění, že přípravek může být nebezpečný pro plod.

## **Další informace o přípravku Procysbi**

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Procysbi platné v celé Evropské unii dne 06.09.2013

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Procysbi 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%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Další informace o léčbě přípravkem Procysbi naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo kontaktujte svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Procysbi 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%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 09-2013.