



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR - sammendrag for offentligheden

Cystadane

betain, vandfri

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Cystadane. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Cystadane bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Cystadane, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Cystadane, og hvad anvendes det til?

Cystadane er et lægemiddel, der anvendes til behandling af homocystinuri, som er en arvelig sygdom, hvor aminosyren homocystein ikke kan nedbrydes og derfor hober sig op i kroppen. Dette medfører en lang række symptomer, herunder nedsat syn, skrøbelige knogler og kredsløbsproblemer.

Det anvendes sammen med andre behandlinger, såsom B6-vitamin (pyridoxin), B12-vitamin (kobalamin), folat og en særlig diæt.

Cystadane indeholder det aktive stof betain, vandfrit.

Da antallet af patienter med homocystinuri er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Cystadane blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 9. juli 2001.

Hvordan anvendes Cystadane?

Behandlingen med Cystadane bør overvåges af en læge med erfaring i behandling af patienter med homocystinuri.

Cystadane fås som et pulver til indtagelse gennem munden. Standarddosis af Cystadane er 100 mg pr. kilogram legemsvægt dagligt, fordelt på to lige store doser. Dosis kan korrigeres afhængig af behandlingens virkning (som overvåges ved at måle indholdet af homocystein i blodet). Målet for

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



behandlingen er at holde blodets indhold af homocystein på under 15 mikromol eller så lavt som muligt. Dette opnås sædvanligvis inden for en måned.

Cystadane leveres med tre måleskeer til 100 mg, 150 mg og 1 g pulver. Det skal opløses fuldstændig i vand, juice, mælk, modermælkserstatning eller mad, umiddelbart før det indtages.

Hvordan virker Cystadane?

Betain er et naturligt stof, der udvindes af sukkerroer. Ved homocystinuri nedsætter betain homocysteinniveauet i blodet ved at omdanne homocystein til aminosyren methionin. Derved mindskes symptomerne på sygdommen.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Cystadane?

Virksomheden har fremlagt oplysninger fra den videnskabelige litteratur om Cystadane. Oplysningerne omfattede 202 rapporter, der beskriver virkningerne af Cystadane, givet i forskellige doser, på homocysteinniveauet hos patienter i forskellige aldre med homocystinuri. For 140 patienter blev der desuden givet oplysninger om deres symptomer, dosis og behandlingsvarighed samt andre lægemidler taget samtidig. Størstedelen af patienterne fik desuden B6-vitamin eller B12-vitamin eller folat. Oplysningerne fra disse undersøgelser blev sammenholdt med publicerede rapporter om forløbet hos ubehandlede patienter med sygdommen.

Hos patienter, der fik Cystadane, mindskedes homocysteinniveauet tilsyneladende mere end hos ubehandlede patienter. Dette var forbundet med bedring i symptomerne i hjerte-kar-systemet samt bedring med hensyn til de udviklingsmæssige problemer hos ca. tre fjerdedele af de patienter, der fik Cystadane. Lægemidlet var effektivt hos patienter med alle tre former for homocystinuri.

Hvilke risici er der forbundet med Cystadane?

Den hyppigste bivirkning ved Cystadane (som optræder hos mere end 1 ud af 10 patienter) er forhøjet indhold af methionin i blodet. Indholdet af methionin bør overvåges hos patienter, der får Cystadane, da det kan medføre hjerneødem (hævelse i hjernen). Patienter med symptomer på hjerneødem, såsom morgenhovedpine med opkastning eller ændret syn, bør kontakte lægen, da det kan være nødvendigt at afbryde behandlingen med Cystadane.

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Cystadane godkendt?

Agenturets udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) besluttede, at lægemidlet, selvom der kun foreligger få systematiske undersøgelser af Cystadane, er et nyttigt supplement til de eksisterende behandlinger for homocystinuri, såsom vitamintilskud og særlig diæt. Udvalget bemærkede, at Cystadane ikke erstatter andre behandlinger.

Udvalget konkluderede, at fordelene ved Cystadane opvejer risiciene, når det anvendes i henhold til indikationen som tillægsbehandling ved homocystinuri. Udvalget anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse for Cystadane.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Cystadane?

Virksomheden, der fremstiller Cystadane, skal oprette et register over de patienter, der får lægemidlet, for at overvåge dets sikkerhed. Virksomheden skal navnlig overvåge tilfælde af hjerneødem, der blev iagttaget hos nogle få patienter under afprøvningen af lægemidlet.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Cystadane.

Andre oplysninger om Cystadane

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Cystadane den 15. februar 2007.

Den fuldstændige EPAR for Cystadane findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Cystadane, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Cystadane findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 10-2016.