



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

---

# Cystadane

## Wasserfreies Betain

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Cystadane. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Cystadane zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Cystadane benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

### Was ist Cystadane und wofür wird es angewendet?

Cystadane ist ein Arzneimittel, das zur Behandlung von Homocystinurie eingesetzt wird, einer erblichen Erkrankung, bei der die Aminosäure Homocystein im Körper nicht vollständig abgebaut werden kann und sich daher dort anreichert. Dies führt zu einer Reihe von Symptomen, wie Beeinträchtigung des Sehvermögens, Knochenschwäche und Kreislaufproblemen.

Es wird als Zusatz zu anderen Therapien wie Vitamin B6 (Pyridoxin), Vitamin B12 (Cobalamin), Folsäure und spezieller Diät verwendet.

Cystadane enthält den Wirkstoff wasserfreies Betain.

Da es nur wenige Patienten mit Homocystinurie gibt, gilt die Erkrankung als selten, und Cystadane wurde am 9. Juli 2001 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

### Wie wird Cystadane angewendet?

Die Behandlung mit Cystadane sollte von einem Arzt eingeleitet werden, der Erfahrung in der Behandlung von Homocystinurie besitzt.

Cystadane ist als Pulver erhältlich, das oral (durch den Mund) einzunehmen ist. Die Standarddosis Cystadane beträgt pro Tag 100 mg je Kilogramm Körpergewicht, verteilt auf zwei Einzelgaben. Die



Dosis kann je nach Ansprechen auf die Behandlung angepasst werden (überwacht durch Messung der Homocysteinkonzentration im Blut). Ziel der Behandlung ist es, die Konzentrationen von Homocystein im Blut unter 15 Mikromol oder so niedrig wie möglich zu halten. Dies wird üblicherweise innerhalb eines Monats erreicht.

Cystadane wird mit drei Messlöffeln ausgeliefert, mit denen 100 mg, 150 mg bzw. 1 g des Pulvers abgemessen werden können. Es muss unmittelbar vor der Einnahme vollständig in Wasser, Saft, Milch, künstlicher Säuglingsnahrung oder anderer Nahrung aufgelöst werden.

## **Wie wirkt Cystadane?**

Betain ist eine natürlich vorkommende Substanz, die aus Zuckerrüben gewonnen wird. Bei Homocystinurie bewirkt Betain eine Senkung der Homocysteinkonzentrationen im Blut, indem es Homocystein zurück in die Aminosäure Methionin umwandelt. Dadurch werden die Krankheitssymptome gemildert.

## **Welchen Nutzen hat Cystadane in den Studien gezeigt?**

Das Unternehmen legte Informationen über Cystadane aus der wissenschaftlichen Literatur vor. Dazu gehörten 202 Berichte, die die Wirkungen von Cystadane bei Gabe verschiedener Dosen auf die Homocysteinkonzentrationen bei Homocystinurie-Patienten verschiedenen Alters beschrieben. Für 140 Patienten wurden auch Informationen über ihre Symptome, die Dosis, die Behandlungsdauer und andere eingenommene Arzneimittel zur Verfügung gestellt. Die meisten Patienten nahmen auch die Vitamine B6, B12 oder Folsäure ein. Die Informationen aus diesen Studien wurden mit veröffentlichten Berichten über das Ergebnis bei unbehandelten Patienten mit der Erkrankung verglichen.

Bei Patienten, die Cystadane einnahmen, wurden die Homocysteinkonzentrationen anscheinend stärker gesenkt als bei unbehandelten Patienten. Bei ungefähr drei Vierteln der Patienten, die Cystadane einnahmen, ging dies einher mit einer Verbesserung der Symptome, die sich auf das Herz-Kreislauf-System und die Entwicklung auswirken. Das Arzneimittel war bei Patienten mit allen drei Arten von Homocystinurie wirksam.

## **Welche Risiken sind mit Cystadane verbunden?**

Eine sehr häufige Nebenwirkung von Cystadane (beobachtet bei mehr als 1 von 10 Patienten) sind erhöhte Methioninkonzentrationen im Blut. Die Methioninkonzentrationen sollten bei Patienten, die Cystadane einnehmen, überwacht werden, da sie zu einem Hirnödem (Schwellung im Gehirn) führen könnten. Patienten mit Symptomen eines Hirnödems wie morgendlichen Kopfschmerzen mit Erbrechen oder Sehstörungen sollten ihren Arzt aufsuchen, da möglicherweise die Behandlung mit Cystadane unterbrochen werden muss.

Die vollständige Auflistung aller Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

## **Warum wurde Cystadane zugelassen?**

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) kam zu dem Schluss, dass, obwohl wenige systematische Studien mit Cystadane vorlagen, das Arzneimittel als Zusatzbehandlung zu vorhandenen Behandlungen gegen Homocystinurie, beispielsweise Vitamingabe und eine besondere Diät, nützlich ist. Der Ausschuss stellte fest, dass Cystadane kein Ersatz für andere Behandlungen ist.

Der Ausschuss entschied, dass der Nutzen von Cystadane in der Zusatzbehandlung von Homocystinurie bei indikationsgerechter Anwendung die Risiken überwiegt, und empfahl, die Genehmigung für das Inverkehrbringen von Cystadane zu erteilen.

### **Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Cystadane ergriffen?**

Der Hersteller von Cystadane wird ein Register der Patienten, die das Arzneimittel einnehmen, erstellen, um dessen Sicherheit zu überwachen. Das Unternehmen wird insbesondere alle Fälle von Hirnödemen überwachen, welches bei einem geringen Anteil der Patienten in der Testphase des Arzneimittels auftrat.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Cystadane, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

### **Weitere Informationen über BTVPUR**

Am 15. Februar 2007 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Cystadane in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Cystadane finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Cystadane benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Cystadane finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 10-2016 aktualisiert.