



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Περίληψη EPAR για το κοινό

---

# Cystadane

## άνυδρη βηταΐνη

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Cystadane. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Cystadane.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη λήψη του Cystadane, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευούνται το φύλλο οδηγιών χρήσης ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

### **Τι είναι το Cystadane και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;**

Το Cystadane χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της ομοκυστινουρίας, μιας κληρονομικής ασθένειας κατά την οποία το αμινοξύ ομοκυστεΐνη δεν μπορεί να διασπαστεί και ως εκ τούτου συσσωρεύεται στον οργανισμό. Το γεγονός αυτό προκαλεί ένα ευρύ φάσμα συμπτωμάτων, μεταξύ άλλων βλάβες στην όραση, εξασθένιση των οστών και κυκλοφορικά προβλήματα.

Χρησιμοποιείται σε συνδυασμό με άλλες θεραπείες, όπως τη βιταμίνη Β6 (πυριδοξίνη), τη βιταμίνη Β12 (κοβαλαμίνη), το φυλλικό οξύ, παράλληλα με μια ειδική δίαιτα.

Το Cystadane περιέχει τη δραστική ουσία άνυδρη βηταΐνη.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με ομοκυστινουρία και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Cystadane χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 9 Ιουλίου 2001.

### **Πώς χρησιμοποιείται το Cystadane;**

Η έναρξη της θεραπείας με Cystadane πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό έμπειρο στη θεραπεία ασθενών με ομοκυστινουρία.

Το Cystadane διατίθεται υπό μορφή σκόνης για από του στόματος χορήγηση. Η συνήθης δόση του Cystadane είναι 100 mg ανά χιλιόγραμμο σωματικού βάρους την ημέρα, διαιρούμενη σε δύο ίσες



δόσεις. Η δόση μπορεί να ρυθμίζεται ανάλογα με την απόκριση του ασθενούς στη θεραπεία (η οποία παρακολουθείται με τη μέτρηση των επιπέδων ομοκυστεΐνης στο αίμα). Σκοπός της θεραπείας είναι να διατηρήσει τα επίπεδα της ομοκυστεΐνης στο αίμα κάτω από τα 15 μmoles ή όσο πιο χαμηλά γίνεται. Αυτό επιτυγχάνεται συνήθως εντός ενός μηνός.

Το Cystadane χορηγείται με 3 δοσομετρικά κουτάλια για τη μέτρηση 100 mg, 150 mg και 1 g σκόνης. Η σκόνη πρέπει να διαλύεται πλήρως σε νερό, χυμό, γάλα, υγρή ή στερεά τροφή και να καταναλώνεται αμέσως.

## **Πώς δρα το Cystadane;**

Η βηταΐνη είναι ένα φυσικό συστατικό που εκχυλίζεται από ζαχαρότευτλα. Στην ομοκυστινουρία, η βηταΐνη μειώνει τα επίπεδα της ομοκυστεΐνης στο αίμα, μετατρέποντας την ομοκυστεΐνη στο αμινοξύ μεθειονίνη. Αυτό βοηθά στη βελτίωση των συμπτωμάτων της νόσου.

## **Ποιο είναι το όφελος του Cystadane σύμφωνα με τις μελέτες;**

Η εταιρεία παρουσίασε πληροφορίες για το Cystadane από την επιστημονική βιβλιογραφία, όπου περιλαμβάνονταν 202 εκθέσεις περιγραφής των αποτελεσμάτων του Cystadane, χορηγούμενου σε διάφορες δόσεις, στα επίπεδα της ομοκυστεΐνης σε ασθενείς διαφόρων ηλικιών με ομοκυστινουρία. Παρουσιάστηκαν επίσης πληροφορίες για τα συμπτώματα, τη δόση και τη διάρκεια θεραπείας 140 ασθενών, καθώς και πληροφορίες για άλλα φάρμακα που αυτοί λάμβαναν. Οι περισσότεροι ασθενείς λάμβαναν παράλληλα βιταμίνες B6 ή B12, ή φυλλικό οξύ. Οι πληροφορίες από τις εν λόγω μελέτες συγκρίθηκαν με τις δημοσιευμένες εκθέσεις που περιέγραφαν την έκβαση των ασθενών που έπασχαν από την συγκεκριμένη ασθένεια και δεν λάμβαναν θεραπεία.

Οι ασθενείς που λάμβαναν Cystadane παρουσίασαν σημαντικότερες μειώσεις στα επίπεδα ομοκυστεΐνης σε σύγκριση με τους ασθενείς που δεν λάμβαναν θεραπεία. Αυτό σχετίστηκε με τη βελτίωση των συμπτωμάτων που επηρεάζουν το καρδιαγγειακό σύστημα (καρδιά και αιμοφόρα αγγεία) καθώς και τη βελτίωση των αναπτυξιακών προβλημάτων σε περίπου τρία τέταρτα των ασθενών που λάμβαναν Cystadane. Το φάρμακο ήταν αποτελεσματικό και στους τρεις τύπους ομοκυστινουρίας.

## **Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Cystadane;**

Η συχνότερη ανεπιθύμητη ενέργεια σε ασθενείς που λαμβάνουν Cystadane (εμφανίζεται σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι αυξημένα επίπεδα μεθειονίνης στο αίμα. Τα επίπεδα μεθειονίνης πρέπει να παρακολουθούνται σε ασθενείς που λαμβάνουν Cystadane, καθώς ενδέχεται να σχετίζονται με εγκεφαλικό οίδημα (πρήξιμο στον εγκέφαλο). Οι ασθενείς με συμπτώματα εγκεφαλικού οιδήματος, όπως οι πρωϊνοί πονοκέφαλοι που συνοδεύονται από έμετο, ή αλλαγές στην όραση, πρέπει να αναφέρουν τα εν λόγω συμπτώματα στον ιατρό τους καθώς η θεραπεία με Cystadane ενδέχεται να πρέπει να διακοπεί.

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

## **Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Cystadane;**

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) έκρινε ότι, παρ' ότι υπήρχαν λίγες συστηματικές μελέτες για το Cystadane, το φάρμακο είναι χρήσιμο όταν χορηγείται συμπληρωματικά σε ήδη υπάρχουσες θεραπείες για την ομοκυστινουρία, όπως η συμπληρωματική χορήγηση βιταμινών και η εφαρμογή ειδικής διαίτας, και επεσήμανε ότι το Cystadane δεν αποτελεί υποκατάστατο άλλων θεραπειών.

Η επιτροπή αποφάσισε ότι τα οφέλη του Cystadane υπερτερούν των κινδύνων που σχετίζονται με αυτό στην συμπληρωματική θεραπεία της ομοκυστινουρίας, όταν χρησιμοποιείται σύμφωνα με την ένδειξη του, και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Cystadane.

## **Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Cystadane;**

Η παρασκευάστρια εταιρεία του Cystadane θα δημιουργήσει μητρώο ασθενών που λαμβάνουν το φάρμακο για να παρακολουθήσει την ασφάλειά του. Ειδικότερα, η εταιρεία θα παρακολουθεί περιστατικά εγκεφαλικού οιδήματος, τα οποία παρατηρήθηκαν κατά τη διάρκεια της δοκιμής του φαρμάκου σε μικρό αριθμό ασθενών.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Cystadane.

## **Λοιπές πληροφορίες για το Cystadane**

Στις 15 Φεβρουαρίου 2007, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Cystadane.

Η πλήρης EPAR του Cystadane διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Cystadane, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Cystadane διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 10-2016.