



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/584567/2013  
EMA/H/C/002465

## EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

---

# Procysbi

## merkaptamin

Ez a Procysbi-re vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Procysbi alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Procysbi alkalmazásával kapcsolatos gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon orvosához vagy gyógyszerészéhez!

### **Milyen típusú gyógyszer a Procysbi és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

A Procysbi egy merkaptamin (más néven ciszteamin) nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. A nefropátiás (vese) cisztinózis kezelésére alkalmazható. A cisztinózis egy örökletes betegség, amely esetén a szervezetben természetesen előforduló cisztin nevű aminosav egyes sejtekben, például a vesében és a szemben, felhalmozódik és kárt okoz.

Mivel a cisztinózisban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Procysbi 2010. szeptember 20. dátummal megkapta a „ritka betegség gyógyszere” minősítést.

A Procysbi egy „hibrid gyógyszer”. Ez azt jelenti, hogy hasonló egy ugyanezen hatóanyagot tartalmazó „referencia-gyógyszerhez”, de a Procysbi olyan gyógyszerformában kapható, amely lehetővé teszi, hogy a hatóanyag késleltetve szabaduljon fel a szervezetben. A Procysbi referencia-gyógyszere a Cystagon.

### **Hogyan kell alkalmazni a Procysbi-t?**

A Procysbi csak receptre kapható, és a kezelés kizárólag olyan szakorvos felügyelete mellett kezdhető meg, aki jártas a cisztinózis kezelésében.

---

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

**Telefon** +44 (0)20 7418 8400 **Fax** +44 (0)20 7418 8416

**E-mail** info@ema.europa.eu **Honlap** www.ema.europa.eu

Az Európai Unió ügynöksége



A Procysbi gyomornedv-ellenálló kapszula (25 és 75 mg) formájában kapható. A gyomornedv-ellenálló kifejezés azt jelenti, hogy a kapszula szétesés nélkül átjut a gyomron és eléri a beleket. A javasolt napi adagot a testfelület nagysága alapján kell kiszámolni, és 1,30 g/m<sup>2</sup> adagot kell két részre osztva, 12 óránként bevenni. A fehérvérsejtek cisztinkoncentrációját (amelynek mértékegysége nmol hemicisztin/mg fehérvérsejt fehérje) vagy a vér merkaptamin-koncentrációját ellenőrizni kell és az adagot ennek alapján módosítani kell; a napi adag nem haladhatja meg az 1,95 g/m<sup>2</sup>-t. A további információkat lásd a betegtájékoztatóban!

## **Hogyan fejt ki hatását a Procysbi?**

A Procysbi hatóanyaga, a merkaptamin, a cisztinnel reakcióba lépve egy másik aminosavat (ún. cisztein) és egy cisztein-ciszteamin só-t alkot. A szervezet ezt a só-t képes eltávolítani a sejtekből. Ezáltal csökken a szervek cisztintartalma és így mérséklődik ezeknek a szerveknek a károsodása.

## **Milyen előnyei voltak a Procysbi alkalmazásának a vizsgálatok során?**

A 12 óránként alkalmazott Procysbi legalább olyan hatásosnak mutatkozott, mint a 6 óránként alkalmazott Cystagon a fehérvérsejtekben található cisztin mennyiségének elfogadható szinten (azaz 1 nmol hemicisztin/mg fehérvérsejt fehérje alatt) tartásában. Egy, 43 nefropátiás cisztinózisban szenvedő beteg részvételével végzett fő vizsgálatban a két gyógyszer között nem volt jelentős különbség a fehérvérsejtek átlagos cisztinszintje szempontjából a 3 hetes kezelés alatt. A szint a Procysbi esetében 0,51 nmol/mg, a Cystagon esetében pedig 0,44 nmol/mg volt.

## **Milyen kockázatokkal jár a Procysbi alkalmazása?**

A Procysbi leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) az étvágytalanság, a hányás, a hányinger, a hasmenés, a letargia (energiahiány) és a láz. A Procysbi alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolását lásd a betegtájékoztatóban!

A Procysbi nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiásak) a merkaptamin bármely formájával vagy a készítmény bármely más összetevőjével, illetve a penicillammal szemben. Nem alkalmazható szoptató anyáknál sem.

## **Miért engedélyezték a Procysbi forgalomba hozatalát?**

Az Ügynökség emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy a Procysbi előnyei meghaladják a kockázatokat, és javasolta a gyógyszer forgalomba hozatalának engedélyezését az EU-ban. A CHMP megjegyezte, hogy a Procysbi legalább ugyanolyan hatékonyan bizonyult a fehérvérsejtekben található cisztin mennyiségének elfogadható szinten tartásában, mint a Cystagon. A bizottság figyelembe vette azt is, hogy a gyomornedv-ellenálló gyógyszerforma, ritkább adagolása miatt várhatóan javítja a kezeléssel való együttműködést és a cisztinózisban szenvedő betegek életminőségét. A biztonságosság tekintetében a CHMP megállapította, hogy a merkaptamin biztonságossági profilja jól megalapozott és a Procysbi biztonságossága várhatóan hasonló, mint a referencia-gyógyszeré.

## **Milyen intézkedéseket hoztak a Procysbi biztonságos és hatásos alkalmazásának biztosítása céljából?**

A Procysbi lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján a Procysbi-re vonatkozó alkalmazási előírásban és betegtájékoztatóban a

biztonsági információkat, többek között az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő, megfelelő óvintézkedéseket tüntették fel.

Ezen felül a Procysbi-t forgalmazó vállalat oktatóanyagot fog eljuttatni a gyógyszert várhatóan felíró összes orvos részére, amely tartalmazni fogja a legfontosabb biztonságossági tudnivalókat, beleértve azt is, hogy a gyógyszer káros hatással lehet a születendő gyermekekre.

## **A Procysbi-vel kapcsolatos egyéb információ:**

2013.09.06- án az Európai Bizottság a Procysbi-re vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Procysbi-re vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben a Procysbi-vel történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon orvosához vagy gyógyszerészéhez!

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Procysbi-re vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 09-2013.