

VIÐAUKI I
SAMANTEKT Á EIGINLEIKUM LYFS

1. HEITI LYFS

Cystadane 1 g duft til inntöku

2. INNIHALDSLÝSING

1 g af dufti inniheldur 1 g af vatnsfríu betaíni.

Sjá lista yfir öll hjálparefni í kafla 6.1.

3. LYFJAFORM

Duft til inntöku
Hvítt, kristallað duft.

4. KLÍNÍSKAR UPPLÝSINGAR

4.1 Ábendingar

Viðbótarmeðferð við hómócyteinmigu, m.a. þegar um skort eða galla á eftirfarandi er að ræða:

- cystatíonín beta-syntasa,
- 5,10-metylen tetrahydrófólat redúktasa (MTHFR),
- umbrot cobalamín hjálparþáttar.

Cystadane á að nota til viðbótar annarri meðferð t.d. með B6 vítamíni (pýridoxín), B12 vítamíni (cobalamín), fólati og sérstöku mataræði.

4.2 Skammtar og lyfjagjöf

Cystadane meðferð á að vera undir eftirliti læknis með reynslu í meðferð sjúklinga með hómócyteinmigu.

Skammtar

Börn og fullorðnir

Ráðlagður heildardagsskammtur er 100 mg/kg/dag gefinn í 2 skömmtum á dag. Þó skal aðlaða skammta fyrir hvern sjúkling miðað við plasmabéttni hómócyteins og metíóníns. Sumir sjúklingar þurftu skammta stærri en 200 mg/kg/dag til að ná meðferðarmarkmiðum. Gæta skal varúðar þegar skammtar eru hækkaðir hjá sjúklingum með skort á cystatíonín beta-syntasa vegna hættu á metíóníndreyra. Fylgjast skal vandlega með þéttni metíóníns hjá þessum sjúklingum.

Sérstakir sjúklingahópar

Lifrar- eða nýrnabilun

Reynsla af meðferð með vatnsfríu betaíni hjá sjúklingum með nýrnabilun eða fitulífur (ekki af völdum áfengisneyslu) hefur sýnt að ekki er nauðsynlegt að breyta skömmtum Cystadane.

Lyfjagjöf

Áður en glasið er opnað á að hrista það lauslega. Þrjár mæliskeiðar sem mæla 100 mg, 150 mg eða 1 g af vatnsfríu betaíni eru meðfylgjandi. Ráðlagt er að taka kúfaða skeið úr glasinu og fjarlægja kúfinn t.d. með hníf. Þannig fást eftirtaldir skammtar: lítil mæliskeið 100 mg, miðstærð 150 mg og stór mæliskeið 1 g af vatnsfríu betaíni.

Duftið á að blanda með vatni, ávaxtasafa, mjólk, þurrmjólk eða fæðu þar til það er alveg uppleyst og neyta þess strax.

Meðferðarstjórnun

Markmið meðferðarinnar er að halda heildarþéttni hómócysteíns í plasma undir 15 míkromóM eða eins lágrí og kostur er. Jafnvægi næst yfirleitt innan mánaðar.

4.3 Frábendingar

Ofnæmi fyrir virka efninu.

4.4 Sérstök varnaðarorð og varúðarreglur við notkun

Greint var frá sjaldgæfum tilvikum alvarlegs heilabjúgs sem tengdust metíóníndreyra innan tveggja vikna til 6 mánaða frá upphafi meðferðar með vatnsfríu betaíni hjá sjúklingum með skort á cystatiónín beta-syntasa (sjá kafla 4.8). Sjúklingarnir náðu sér að fullu þegar meðferðinni var hætt:

- Þéttni metíóníns í plasma á að halda undir 1.000 μM. Mælt er með því að mæla metíónín í plasma í upphafi meðferðar og um það bil árlega eða tvisvar á ár eftir það. Ef metíónín hækkar umfram fyrsta 700 μmól/l öryggisþröskuldinn, skal eftirlit með sjúklingi aukið og kanna hvort réttu matarræði sé fylgt. Til að draga úr þéttni metíóníns skal íhuga breytingar á matarræði og minnka Cystadane skammta eða gera hlé á Cystadane meðferð tímabundið.
- Komi einhver merki heilabjúgs í ljós, eins og morgunhöfuðverkur með uppköstum og/eða sjónbreytingum, á að mæla þéttni metíóníns í plasma og kanna hvort réttu matarræði sé fylgt og gera hlé á Cystadane meðferð.
- Ef einkenni heilabjúgs koma aftur í ljós eftir að meðferð er hafin að nýju á að hætta meðferð með vatnsfríu betaíni fyrir fullt og allt.

Til að draga úr hættu á hugsanlegum milliverkunum er ráðlegt að gefa vatnsfrítt betaín og amínósýrublöndur og/eða lyf sem innihalda vigabatrín og GABA hliðstæður með 30 mínútna millibili (sjá kafla 4.5).

4.5 Milliverkanir við önnur lyf og aðrar milliverkanir

Ekki hafa verið gerðar neinar rannsóknir á milliverkunum.

Byggt á niðurstöðum *in vitro* rannsókna getur vatnsfrítt betaín hugsanlega milliverkað við amínósýrublöndur og lyf sem innihalda vigabatrín og GABA hliðstæður.

4.6 Frjósemi, meðganga og brjóstgjöf

Meðganga

Upplýsingar frá takmörkuðum fjölda þungana þar sem lyfið hefur verið notað benda ekki til að vatnsfrítt betaín hafi skaðleg áhrif á meðgönguna eða heilbrigði fósturs/nýbura. Enn liggja ekki fyrir nein önnur faraldsfræðileg gögn sem máli skipta. Æxlunarrannsóknir á dýrum hafa ekki verið gerðar. Vatnsfrítt betaín á meðgöngu ásamt píridoxíni, fólati, segavarnarlyfi og ákveðnu matarræði ásamt eftirliti með hómócysteíni í plasma ætti hvorki að skaða móður né fóstur. Samt sem áður ætti ekki að nota Cystadane á meðgöngu nema brýna nauðsyn beri til.

Brjóstgjöf

Ekki er þekkt hvort vatnsfrítt betaín skiljist út í brjóstamjólk (þótt forefni þess kólín, finnist í miklu magni í brjóstamjólki). Vegna skorts á upplýsingum skal gæta varúðar þegar Cystadane er ávísað konum með barn á brjósti.

Frjósemi

Engar upplýsingar liggja fyrir.

4.7 Áhrif á hæfni til aksturs og notkunar véla

Cystadane hefur engin eða óveruleg áhrif á hæfni til aksturs eða notkunar véla.

4.8 Aukaverkanir

Yfirlit yfir öryggisupplýsingar

Almennt virtust aukaverkanir sem fram komu í tengslum við meðferð með vatnsfríu betaíni ekki vera alvarlegar og tengdust í flestum tilvikum meltingarfærum. Meltingarfæratruflanir á borð við niðurgang, tungubólgu, ógleði, ónot í maga, uppköst og tannraskanir komu sjaldan fram.

Þær aukaverkanir sem oftast var tilkynnt um meðan á meðferð stóð voru aukið metiónín í blóði. Þetta gekk fullkomlega til baka eftir að meðferð var hætt (sjá kafla 4.4).

Tafla yfir aukaverkanir

Aukaverkanir sem greint hefur verið frá eru taldar upp hér að neðan eftir líffærakerfum og tíðni. Tíðnin er skilgreind sem: mjög algengar ($\geq 1/10$), algengar ($\geq 1/100$ til $< 1/10$), sjaldgæfar ($\geq 1/1.000$ til $< 1/100$); mjög sjaldgæfar ($\geq 1/10.000$ til $< 1/1.000$), koma örsjaldan fyrir ($< 1/10.000$). Innan tíðniflokka eru alvarlegustu aukaverkanirnar taldar upp fyrst.

Efnaskipti og næring	Sjaldgæfar: lystarleysi
Geðræn vandamál	Sjaldgæfar: óróleiki, pirringur
Taugakerfi	Sjaldgæfar: heilabjúgur*
Meltingarfæri	Sjaldgæfar: niðurgangur, tungubólga, ógleði, magaóþægindi, uppköst
Húð og undirhúð	Sjaldgæfar: hármisssir, ofsakláði, óeðlileg húðlykt
Nýru og þvaggfæri	Sjaldgæfar: þvagleki
Rannsóknaniðurstöður	Mjög algengar: aukið metiónín í blóði*

Lýsingar á völdum aukaverkunum

*Greint var frá sjaldgæfum tilvikum alvarlegs heilabjúgs og metióníndreyra innan tveggja vikna til 6 mánaða frá upphafi meðferðar með vatnsfríu betaíni hjá sjúklingum með skort á cystatiónín beta-syntasa. Sjúklingarnir náðu sér að fullu þegar meðferðinni var hætt.

Merki um heilabjúg eru meðal annars höfuðverkir á morgnana ásamt uppköstum og/eða sjónbreytingum.

Mikil aukning var á þéttni metióníns í plasma hjá þessum sjúklingum eða á bilinu 1.000 til 3.000 míkróm. Þar sem einnig hefur verið greint frá heilabjúg hjá sjúklingum með metióníndreyra, hefur verið gert ráð fyrir að afleiddur metióníndreyri vegna meðferðar með vatnsfríu betaíni sé hugsanlegur verkunarmáti.

Sjá kafla 4.4 til að fá sértækar ráðleggingar.

Tilkynning aukaverkana sem grunur er um að tengist lyfinu

Eftir að lyf hefur fengið markaðsleyfi er mikilvægt að tilkynna aukaverkanir sem grunur er um að tengist því. Þannig er hægt að fylgjast stöðugt með sambandinu milli ávinnings og áhættu af notkun lyfsins. Heilbrigðisstarfsmenn eru hvattir til að tilkynna allar aukaverkanir sem grunur er um að tengist lyfinu samkvæmt fyrirkomulagi sem gildir í hverju landi fyrir sig, sjá [Appendix V](#).

4.9 Ofskömmtun

Engar upplýsingar liggja fyrir um ofskömmtun.

5. LYFJAFRÆÐILEGAR UPPLÝSINGAR

5.1 Lyfhrif

Flokkun eftir verkun: Önnur meltingarfæra- og efnaskiptalyf, ATC flokkur: A16A A06.

Verkunarháttur

Sýnt hefur verið fram á að vatnsfrítt betaín dregur úr þéttni hómócysteins í plasma í þremur tegundum af hómócysteinmigu, þ.e. skorti á cystatiónín beta-syntasa; MTHFR skorti og galla í umbrotum

cobalamín hjálparþáttar. Áhrifin voru háð umfangi hómócyteindreyra og voru meiri þegar um alvarlegan hómócyteindreyra var að ræða.

Lyfhrif

Vatnsfrítt betaín verkar á þann hátt að það gefur frá sér metylhóp við endurmetyleringu hómócyteins í metiónín hjá sjúklingum með hómócyteinmigu. Því ætti þéttni hómócyteins í plasma að minnka hjá þessum sjúklingum um u.þ.b. 20-30% miðað við þéttni fyrir meðferð.

Einnig hefur verið sýnt fram á að vatnsfrítt betaín eykur þéttni metióníns í plasma og þéttni S-adenósýl metióníns (SAM) hjá sjúklingum með MTHFR skort og galla í umbrotum cobalamín hjálparþáttar. Hjá sjúklingum með skort á cystatíonín beta-syntasa án skerðingar á metióníni í fæðu, hefur óhófleg uppsöfnun metióníns komið í ljós.

Sýnt var fram á að uppbót með vatnsfríu betaíni bætir efnaskiptafrávik í heila- og mænuvökva hjá sjúklingum með hómócyteinmigu.

Verkun og öryggi

Aukin þéttni hómócyteins í plasma tengist hjarta- og æðasjúkdómum (eins og segamyndun), beinþynningu, beinbreytingum og tilfærslu augasteins. Í áhorfsrannsóknnum greindi læknir sem sá um meðferðina frá klínískum bata (hjarta, æðar og taugaþroski) hjá u.þ.b. 75% sjúklinga sem fengu vatnsfrítt betaín. Flestir þessara sjúklinga fengu einnig aðra meðferð eins og B6-vítamín (pýridoxín), B12- vítamín (cobalamín) og fólát, með mismunandi lífefnafræðilegri svörun. Yfirleitt dró enn frekar úr þéttni hómócyteins í plasma með tilkomu vatnsfrís betaíns. Vegna þess hve meðferðin er margþætt (mataræði, lyfjameðferð, stuðningsmeðferð) hjá þessum sjúklingum er hugsanlegt að um lítilsháttar ofmat sé að ræða með tilliti til klínískra áhrifa meðferðar með vatnsfríu betaíni. Ef hómócyteinmiga með einkennum greinist seint, getur það valdið frekari sjúkdómum vegna óafturkræfra skemmda í bandvef (augu, bein) sem ekki er hægt að lagfæra með frekari meðferð. Þær klínísku niðurstöður sem fáanlegar eru nægja ekki til að ákvarða samspil skammta og verkunar. Engar vísbendingar eru um þolmyndun.

Í nokkrum tilvikum hefur aukin þéttni metióníns í plasma tengst heilabjúg (sjá kafla 4.4 og 4.8).

Þegar fylgst hefur verið með þéttni hómócyteins í plasma kemur í ljós að verkun vatnsfrís betaíns hefst innan nokkurra daga og svörun við stöðuga þéttni næst innan mánaðar.

Börn

Hjá börnum yngri en 10 ára er venjulegur meðferðarskammtur yfirleitt 100 mg/kg/dag gefinn í tveimur skömmtum, dagskammtur gefinn í fleiri skömmtum en tveimur og/eða stærrí en 150 mg/kg/dag hefur ekki frekari áhrif á lækun hómócyteins.

Þótt fylgst sé með þéttni betaíns í plasma kemur það ekki að gagni við að skilgreina virkni meðferðarinnar, þar sem þéttin svarar ekki beint til flæðis gegnum betaín hómócytein metyl transferasa ferilinn í frymisvökva.

5.2 Lyfjahvörf

Niðurstöður lyfjahvarfa hjá sjúklingum með hómócyteinmigu sem eru í langtíma meðferð með vatnsfríu betaíni voru svipuð og hjá heilbrigðum sjálfboðaliðum. Þetta sýnir að mismunur á lyfjahvörfum vatnsfrís betaíns er að mestu leyti vegna skorts á vatnsfríu betaíni hjá sjúklingum með ómeðhöndlaða hómócyteinmigu og skiptir aðeins máli við upphaf meðferðar.

Frásog

Heildaraðgengi vatnsfrís betaíns hefur ekki verið ákvarðað. Hjá fullorðnum heilbrigðum sjálfboðaliðum (á aldrinum 21 til 49 ára), var frásog hratt ($t_{max} = 0,9 \pm 0,3$ klst. og $C_{max} = 0,9 \pm 0,2$ mM) eftir stakan skammt af vatnsfríu betaíni til inntöku (50 mg/kg). Eftir endurtekna skammta sem voru 100 mg/kg/dag í 5 daga, varð ekki breyting á lyfjahvörfum frásogs.

Dreifing

Vatnsfrítt betaín dreifðist hratt í hlutfallslega stórt rúmmál ($V/F = 1,3 \text{ l/kg}$).

Eftir endurtekna skammta sem voru 100 mg/kg/dag í 5 daga jókst helmingunartími dreifingar marktækt (í allt að 36 klst.), sem bendir til mettanlegra flutnings- og endurdreifingarferla.

Umbrot

Vatnsfrítt betaín er efni sem gefur frá sér metýlhóp.

Brotthvarf

Brotthvarf er hægt (meðal helmingunartími = 14 klst., meðal heildarúthreinsun, $CL/F = 84 \text{ ml/klst./kg}$) og nýrnaúthreinsun hverfandi (5% af heildarúthreinsun), miðað við 100% aðgengi.

5.3 Forklínískar upplýsingar

Við stóra skammta komu í ljós bælandi áhrif á miðtaugakerfi og erting í meltingarvegi hjá rottum. Langtímarannsóknir á krabbameinsvaldandi áhrifum og eiturverkanir á æxlun hafa ekki verið gerðar á vatnsfríu betaíni. Stöðluð rannsókn á eituráhrifum á erfðæfni bendir ekki til neinnar hættu hjá mönnum.

6. LYFJAGERÐARFRÆÐILEGAR UPPLÝSINGAR

6.1 Hjálparefni

Engin.

6.2 Ósamrýmanleiki

Á ekki við.

6.3 Geymsluþol

Óopnað glas: 3 ár.

Eftir að glasið hefur verið opnað: 3 mánuðir.

6.4 Sérstakar varúðarreglur við geymslu

Geymið við lægra hitastig en 25°C

Geymið glasið vel lokað til varnar gegn raka.

Varðandi geymsluáðstæður eftir að umbúðir lyfsins eru rofnar, sjá kafla 6.3.

6.5 Gerð íláts og innihald

HDPE glas með öryggislöki.

Í hverri pakkningu er 1 glas með 180 g af dufti og þrjár mæliskeiðar.

6.6 Sérstakar varúðarráðstafanir við förgun

Farga skal öllum lyfjaleifum og/eða úrgangi í samræmi við gildandi reglur.

7. MARKAÐSLEYFISHAFI

Recordati Rare Diseases

Immeuble "Le Wilson"

70, Avenue du General de Gaulle

F-92800 Puteaux

Frakklandi

8. MARKAÐSLEYFISNÚMER

EU/1/06/379/001

**9. DAGSETNING FYRSTU ÚTGÁFU MARKAÐSLEYFIS/ENDURNÝJUNAR
MARKAÐSLEYFIS**

Dagsetning fyrstu útgáfu markaðsleyfis: 15. febrúar 2007.

Nýjasta dagsetning endurnýjunar markaðsleyfis: 21. nóvember 2016.

10. DAGSETNING ENDURSKOÐUNAR TECYSTADANETANS

Ítarlegar upplýsingar um lyfið eru birtar á vef Lyfjastofnunar Evrópu <http://www.ema.europa.eu>.

VIÐAUKI II

- A. FRAMLEIÐENDUR SEM ERU ÁBYRGIR FYRIR LOKASAMÞYKKT**
- B. FORSENDUR FYRIR, EÐA TAKMARKANIR Á, AFGREIÐSLU OG NOTKUN**
- C. AÐRAR FORSENDUR OG SKILYRÐI MARKAÐSLEYFIS**
- D. FORSENDUR EÐA TAKMARKANIR ER VARÐA ÖRYGGI OG VERKUN VIÐ NOTKUN LYFSINS**

A. FRAMLEIÐENDUR SEM ERU ÁBYRGIR FYRIR LOKASAMÞYKKT

Heiti og heimilisfang framleiðanda sem er ábyrgur fyrir lokasamþykkt

Recordati Rare Diseases
Immeuble "Le Wilson"
70, avenue du Général de Gaulle
F - 92800 Puteaux
Frakklandi

Recordati Rare Diseases
Eco River Parc
30, rue des Peupliers
F-92000 Nanterre
Frakklandi

Heiti og heimilisfang framleiðanda sem er ábyrgur fyrir lokasamþykkt viðkomandi lotu skal koma fram í prentuðum fylgiseðli.

B. FORSENDUR FYRIR, EÐA TAKMARKANIR Á, AFGREIÐSLU OG NOTKUN

Ávísun lyfsins er háð sérstökum takmörkunum (Sjá viðauka 1: Samantekt á eiginleikum lyfs, kafla 4.2).

C. AÐRAR FORSENDUR OG SKILYRÐI MARKAÐSLEYFIS

• Samantektir um öryggi lyfsins (PSUR)

Skilyrði um hvernig leggja skal fram samantektir um öryggi lyfsins koma fram í lista yfir viðmiðunardagsetningar Evrópusambandsins (EURD lista) sem gerð er krafa um í grein 107c(7) í tilskipun 2001/83/EB og öllum síðari uppfærslum sem birtar eru í evrópsku lyfjavefgáttinni.

D. FORSENDUR EÐA TAKMARKANIR ER VARÐA ÖRYGGI OG VERKUN VIÐ NOTKUN LYFSINS

• Áætlun um áhættustjórnun

Markaðsleyfishafi skal sinna lyfjagátaraðgerðum sem krafist er, sem og öðrum ráðstöfunum eins og fram kemur í áætlun um áhættustjórnun í kafla 1.8.2 í markaðsleyfinu og öllum uppfærslum á áætlun um áhættustjórnun sem ákveðnar verða.

Leggja skal fram uppfærða áætlun um áhættustjórnun:

- Að beiðni Lyfjastofnunar Evrópu.
- Þegar áhættustjórnunarkerfinu er breytt, sérstaklega ef það gerist í kjölfar þess að nýjar upplýsingar berast sem geta leitt til mikilvægra breytinga á hlutfalli ávinnings/áhættu eða vegna þess að mikilvægur áfangi (tengdur lyfjagát eða lágmarkun áhættu) næst.

VIÐAUKI III
ÁLETRANIR OG FYLGISEDILL

A. ÁLETRANIR

UPPLÝSINGAR SEM EIGA AÐ KOMA FRAM Á YTRI UMBÚÐUM

ASKJA

1. HEITI LYFSINS

Cystadane 1 g duft til inntöku
Vatnsfrítt betaín

2. VIRK(T) EFNI

1 g af dufti inniheldur 1 g af vatnsfrú betaíni.

3. HJÁLPAEFNI

4. LYFJAFORM OG INNIHALD

180 g af dufti til inntöku og þrjár mæliskeiðar.
Þrjár mæliskeiðar (græn, blá, bleik) fyrir 100 mg, 150 mg eða 1 g af vatnsfrú betaíni.

5. AÐFERÐ VIÐ LYFJAGJÖF OG ÍKOMULEIÐ(IR)

Hristið glasið lauslega áður en það er opnað.
Lesið fylgiseðilinn fyrir notkun.
Til inntöku.

6. SÉRSTÖK VARNADARORÐ UM AÐ LYFIÐ SKULI GEYMT ÞAR SEM BÖRN HVORKI NÁ TIL NÉ SJÁ

Geymið þar sem börn hvorki ná til né sjá.

7. ÖNNUR SÉRSTÖK VARNADARORÐ, EF MEÐ ÞARF

8. FYRNINGARDAGSETNING

EXP
Geymsluþol eftir að glasið hefur verið opnað: 3 mánuðir.

9. SÉRSTÖK GEYMSLUSKILYRÐI

Geymið við lægri hita en 25°C.
Geymið glasið vel lokað til varnar gegn raka.

10. SÉRSTAKAR VARÚÐARRÁÐSTAFANIR VIÐ FÖRGUN LYFJALEIFA EÐA ÚRGANGS VEGNA LYFSINS ÞAR SEM VIÐ Á

11. NAFN OG HEIMILISFANG HANDHAFA MARKAÐSLEYFIS

Recordati Rare Diseases
Immeuble "Le Wilson"
70, Avenue du General de Gaulle
F-92800 Puteaux
Frakklandi

12. MARKAÐSLEYFISNÚMER

EU/1/06/379/001

13. LOTUNÚMER

Lot

14. AFGREIÐSLUTILHÖGUN

Lyfið er lyfseðilsskylt.

15. NOTKUNARLEIÐBEININGAR

16. UPPLÝSINGAR MEÐ BLINDRALETRI

Cystadane 1g duft til inntöku

17. EINKVÆMT AUÐKENNI – TVÍVÍTT STRIKAMERKI

Á pakkningunni er tvívítt strikamerki með einkvæmu auðkenni.

18. EINKVÆMT AUÐKENNI – UPPLÝSINGAR SEM FÓLK GETUR LESIÐ

PC:
SN:
NN:

LÁGMARKS UPPLÝSINGAR SEM SKULU KOMA FRAM Á INNRI UMBÚÐUM LÍTILLA EININGA

GLASAMIÐI

1. HEITI LYFSINS

Cystadane 1 g duft til inntöku
Vatnsfrítt betaín

2. VIRK(T) EFNI

1 g af dufti inniheldur 1 g af vatnsfrú betaíni.
Þrjár mæliskeiðar (græn, blá, bleik) fyrir 100 mg, 150 mg eða 1 g af vatnsfrú betaíni.

3. HJÁLPAFENI

4. LYFJAFORM OG INNIHALD

180 g af dufti til inntöku.

5. AÐFERÐ VIÐ LYFJAGJÖF OG ÍKOMULEIÐ(IR)

Hristið glasið lítilsháttar áður en það er opnað.
Lesið fylgiseðilinn fyrir notkun.
Til inntöku.

6. SÉRSTÖK VARNADARORÐ UM AÐ LYFIÐ SKULI GEYMT ÞAR SEM BÖRN HVORKI NÁ TIL NÉ SJÁ

Geymið þar sem börn hvorki ná til né sjá.

7. ÖNNUR SÉRSTÖK VARNADARORÐ, EF MEÐ ÞARF

8. FYRNINGARDAGSETNING

EXP
Geymsluþol eftir að glasið hefur verið opnað: 3 mánuðir.
Opnað:

9. SÉRSTÖK GEYMSLUSKILYRÐI

Geymið við lægri hita en 25°C
Geymið glasið vel lokað til varnar gegn raka.

10. SÉRSTAKAR VARÚÐARRÁÐSTAFANIR VIÐ FÖRGUN LYFJALEIFA EÐA ÚRGANGS VEGNA LYFSINS ÞAR SEM VIÐ Á

11. NAFN OG HEIMILISFANG HANDHAFA MARKAÐSLEYFIS

Recordati Rare Diseases
Immeuble "Le Wilson"
70, Avenue du General de Gaulle
F-92 800 Puteaux
Frakklandi

12. MARKAÐSLEYFISNÚMÉR

EU/1/06/379/001

13. LOTUNÚMÉR

Lot.

14. AFGREIÐSLUTILHÖGUN

Lyfið er lyfseðilsskylt.

15. NOTKUNARLEIÐBEININGAR

16. UPPLÝSINGAR MEÐ BLINDRALETRI

Cystadane 1g duft til inntöku

17. EINKVÆMT AUÐKENNI – TVÍVÍTT STRIKAMERKI

Á pakkningunni er tvívítt strikamerki með einkvæmu auðkenni.

18. EINKVÆMT AUÐKENNI – UPPLÝSINGAR SEM FÓLK GETUR LESIÐ

PC:
SN:
NN:

B. FYLGISEÐILL

Fylgiseðill: Upplýsingar fyrir notanda lyfsins

Cystadane 1 g duft til inntöku
Vatnsfrítt betaín

Lesið allan fylgiseðilinn vandlega áður en byrjað er að nota lyfið. Í honum eru mikilvægar upplýsingar.

- Geymið fylgiseðilinn. Nauðsynlegt getur verið að lesa hann síðar.
- Leitið til læknisins eða lyfjafraeðings ef þörf er á frekari upplýsingum um lyfið.
- Þessu lyfi hefur verið ávísað til persónulegra nota. Ekki má gefa það öðrum. Það getur valdið þeim skaða, jafnvel þótt um sömu sjúkdómseinkenni sé að ræða
- Látið lækninn eða lyfjafraeðing vita um allar aukaverkanir. Þetta gildir einnig um aukaverkanir sem ekki er minnst á í þessum fylgiseðli. Sjá kafla 4.

Í fylgiseðlinum eru eftirfarandi kaflar

1. Upplýsingar um Cystadane og við hverju það er notað
2. Áður en byrjað er að nota Cystadane
3. Hvernig nota á Cystadane
4. Hugsanlegar aukaverkanir
5. Hvernig geyma á Cystadane
6. Pakkningar og aðrar upplýsingar

1. Upplýsingar um Cystadane og við hverju það er notað

Cystadane inniheldur vatnsfrítt betaín sem er ætlað sem viðbótarmeðferð við hómócyteinmigu, sem er arfgengur sjúkdómur (erfðasjúkdómur) sem lýsir sér þannig að amínósýran metíónín brotnar ekki fyllilega niður í líkamanum.

Metíónín er til staðar í próteini í venjulegum mat (t.d. kjöt, fiskur, mjólk, ostur, egg). Það breytist í hómócytein sem breytist venjulega í cystein við meltingu. Hómócyteinmiga er sjúkdómur sem verður vegna uppsöfnunar hómócysteins sem breytist ekki í cystein og það myndar sega í bláæðum (blóðtappa), beinþynningu og kvilla í beinagrind og augasteini. Notkun Cystadane ásamt annarri meðferð eins og B6 vítamíni, B12 vítamíni, fólati og sérstöku mataræði miðar að því að draga úr aukinni þéttni hómócysteins.

2. Áður en byrjað er að nota Cystadane

Ekki má nota Cystadane

Ef um er að ræða ofnæmi fyrir vatnsfríu betaíni.

Varnaðarorð og varúðarreglur

Leitið ráða hjá læknum eða lyfjafraeðingi áður en Cystadane er notað.

Ef þú verður var/vör við aukaverkanir eins og höfuðverk, uppköst eða sjónbreytingar og þú ert með undirgerð hómócyteinmigu sem kallast skortur á cystatíónín beta-syntasa (CBS) skaltu hafa samband við lækninn samstundis, þetta gæti verið merki um bólgu í heila (heilabjúg). Þá mun læknirinn fylgjast með metíónín þéttni í líkamanum og fara yfir mataræðið. Hugsanlega þarf að gera hlé á Cystadane meðferðinni.

Ef þú færð Cystadane og amínósýrublöndu og þarft hugsanlega að taka önnur lyf samtímis, þá skaltu láta 30 mínútur líða á milli inntöku (sjá „Notkun annarra lyfja samhliða Cystadane“).

Notkun annarra lyfja samhliða Cystadane

Látið lækninn vita um öll önnur lyf sem eru notuð, hafa nýlega verið notuð eða kynnu að verða notuð. Látið lækninn vita ef amínósýrublöndur eða lyf eins og vigabatrín eða GABA hliðstæða (lyf til meðferðar við flogaveiki) eru tekin því þau gætu haft áhrif á Cystadane meðferðina.

Meðganga og brjóstgjöf

Við meðgöngu, brjóstgjöf, grun um þungun eða ef þungun er fyrirhuguð skal leita ráða hjá læknum áður en lyfið er notað. Læknirinn mun taka ákvörðun um það hvort þú getir notað lyfið á meðgöngu og við brjóstgjöf.

Akstur og notkun véla

Cystadane hefur engin eða óveruleg áhrif á hæfni til aksturs eða notkunar véla.

3. Hvernig nota á Cystadane

Notkun lyfsins er undir eftirliti læknis með reynslu í meðferð sjúklinga með hómócyteinmigu. Notið lyfið alltaf eins og læknirinn eða lyfjafræðingur hefur sagt til um. Ef ekki er ljóst hvernig nota á lyfið skal leita upplýsinga hjá læknum eða lyfjafræðingi.

Ráðlagður skammtur fyrir börn og fullorðna er 100 mg/kg/dag sem skipt er í 2 skammta á dag. Sumir sjúklingar þurftu skammta stærri en 200 mg/kg/dag til að ná meðferðarmarkmiðum. Verið getur að læknirinn aðlagi skammtinn miðað við rannsóknarniðurstöður þínar.

Þess vegna þarf að taka blóðpróf reglulega til að ákvarða rétta dagsskammtinn.

Þú skalt nota Cystadane til inntöku (um munn).

Hvernig mæla á skammt:

- Glasið er hrist lauslega áður en það er opnað
- Rétt mæliskeið er tekin:
 - litla græna skeiðin mælir 100 mg af vatnsfríu betaín dufti;
 - meðalstóra bláa skeiðin mælir 150 mg af vatnsfríu betaín dufti;
 - stóra bleika skeiðin mælir 1 g af vatnsfríu betaín dufti.
- takið kúfaða skeið af dufti úr glasinu
- takið kúfinn af með hníf
- það duft sem eftir er, er ein sléttfull mæliskeið
- takið réttan fjölda skeiða úr glasinu

Duftið á að blanda með vatni, ávaxtasafa, mjólk, þurrmjólk eða fæðu þar til það er alveg uppleyst og neyta þess strax eftir blöndun.

Ef tekinn er stærri skammtur en mælt er fyrir um af Cystadane

Ef þú tekur of mikið af Cystadane fyrir slysi skaltu tafalaust hafa samband við lækni eða lyfjafræðing.

Ef gleymist að nota Cystadane

Ekki á að tvöfalda skammt til að bæta upp skammt sem gleymst hefur að taka. Ef þú gleymir að taka skammt skaltu taka hann um leið og þú manst eftir því og taka svo næsta skammt á réttum tíma.

Ef hætt er að nota Cystadane

Ekki hætta meðferðinni nema ráðfæra þig við lækinn. Hafðu samband við lækinn eða lyfjafræðing áður en þú hættir að nota lyfið.

Leitið til læknisins eða lyfjafræðings ef þörf er á frekari upplýsingum um notkun lyfsins.

4. Hugsanlegar aukaverkanir

Eins og við á um öll lyf getur þetta lyf valdið aukaverkunum en það gerist þó ekki hjá öllum.

Algengasta aukaverkunin við töku Cystadane sem geta komið fyrir hjá fleiri en 1 af hverjum 10 einstaklingum (mjög algengt) er aukið metíónín í blóði.

Metíónín gildi kunna að tengjast bólgu í heila (heilabjúgur) sem geta komið fyrir hjá allt að 1 af hverjum 100 einstaklingum (sjaldgæft). Ef þú finnur fyrir höfuðverk á morgnana ásamt uppköstum og/eða sjónbreytingum skaltu tafarlaust hafa samband við lækinn (þetta gætu verið merki um bólgu í heila).

Meltingarfæratrufnanir eins og niðurgangur, ógleði, uppköst, ónot í maga og bólga í tungu koma sjaldan fyrir (geta komið fyrir hjá allt að 1 af hverjum 100 einstaklingum).

Aðrar sjaldgæfar aukaverkanir (geta komið fyrir hjá allt að 1 af hverjum 100 einstaklingum) geta verið minnkuð matarlyst (lystarstol), óróleiki, píringur, hármíssir, ofsakláði, óeðlileg húðlykt, skortur á stjórn á þvaglátum (þvagleki).

Tilkynning aukaverkana

Látið lækinn eða lyfjafræðing vita um allar aukaverkanir. Þetta gildir einnig um aukaverkanir sem ekki er minnst á í þessum fylgiseðli. Einnig er hægt að tilkynna aukaverkanir beint samkvæmt fyrirkomulagi sem gildir í hverju landi fyrir sig, sjá [Appendix V](#). Með því að tilkynna aukaverkanir er hægt að hjálpa til við að auka upplýsingar um öryggi lyfsins.

5. Hvernig geyma á Cystadane

Geymið lyfið þar sem börn hvorki ná til né sjá.

Ekki skal nota lyfið eftir fyrningardagsetningu sem tilgreind er á merkimiðanum og öskjunni á eftir EXP. Fyrningardagsetning er síðasti dagur mánaðarins sem þar kemur fram.

Geymið við lægri hita en 25°C.

Geymið glasið vel lokað til varnar gegn raka.

Eftir að glasið hefur verið opnað á að nota lyfið innan 3 mánuðir.

Ekki má skola lyfjum niður í frárennislagnir eða fleygja þeim með heimilissorpi. Leitið ráða í apóteki um hvernig heppilegast er að farga lyfjum sem hætt er að nota. Markmiðið er að vernda umhverfið.

6. Pakkningar og aðrar upplýsingar

Hvað inniheldur Cystadane

- Virka innihaldsefnið er vatnsfrítt betaín. Í 1 g af dufti til inntöku er 1 g af vatnsfríu betaíni.
- Engin önnur innihaldsefni eru til staðar.

Lýsing á útliti Cystadane og pakkningastærðir

Cystadane er hvítt kristallað laust duft. Það er í glasi með öryggisloki. Í hverju glasi eru 180 g af dufti. Hver askja inniheldur eitt glas og þrjár mæliskeiðar.

Markaðsleyfishafi

Recordati Rare Diseases

Immeuble “Le Wilson”

70, Avenue du General de Gaulle

F-92 800 Puteaux

Frakklandi

Framleiðandi

Recordati Rare Diseases

Immeuble “Le Wilson”

70, Avenue du General de Gaulle

F-92 800 Puteaux
Frakklandi

eða

Recordati Rare Diseases
Eco River Parc
30, rue des Peupliers
F-92000 Nanterre
Frakklandi

Hafið þá samband við fulltrúa markaðsleyfishafa á hverjum stað ef óskað er upplýsinga um lyfið:

Belgique/België/Belgien

Recordati
Tél/Tel: +32 2 46101 36

Lietuva

Recordati AB.
Tel: + 46 8 545 80 230
Švedija

България

Recordati Rare Diseases
Tel: +33 (0)1 47 73 64 58
Франция

Luxembourg/Luxemburg

Recordati
Tél/Tel: +32 2 46101 36
Belgique/Belgien

Česká republika

Recordati Rare Diseases
Tel: +33 (0)1 47 73 64 58
Francie

Magyarország

Recordati Rare Diseases
Tel: +33 (0)1 47 73 64 58
Franciaország

Danmark

Recordati AB.
Tlf : +46 8 545 80 230
Sverige

Malta

Recordati Rare Diseases
Tel: +33 1 47 73 64 58
Franza

Deutschland

Recordati Rare Diseases Germany GmbH
Tel: +49 731 140 554 0

Nederland

Recordati
Tel: +32 2 46101 36
België

Eesti

Recordati AB.
Tel: + 46 8 545 80 230
Rootsi

Norge

Recordati AB.
Tlf : +46 8 545 80 230
Sverige

Ελλάδα

Recordati Rare Diseases
Τηλ: +33 (0)1 47 73 64 58
Γαλλία

Österreich

Recordati Rare Diseases Germany GmbH
Tel: +49 731 140 554 0
Deutschland

España

Recordati Rare Diseases Spain S.L.U.
Tel: + 34 91 659 28 90

Polska

Recordati Rare Diseases
Tel: +33 (0)1 47 73 64 58
Francja

France

Recordati Rare Diseases
Tél: +33 (0)1 47 73 64 58

Portugal

Jaba Recordati S.A.
Tel: +351 21 432 95 00

Hrvatska

Recordati Rare Diseases
Tél: +33 (0)1 47 73 64 58
Francuska

Ireland

Recordati Rare Diseases
Tel: +33 (0)1 47 73 64 58
France

Ísland

Recordati AB.
Simi:+46 8 545 80 230
Svíþjóð

Italia

Recordati Rare Diseases Italy Srl
Tel: +39 02 487 87 173

Κύπρος

Recordati Rare Diseases
Τηλ : +33 1 47 73 64 58
Γαλλία

Latvija

Recordati AB.
Tel: + 46 8 545 80 230
Zviedrija

România

Recordati Rare Diseases
Tel: +33 (0)1 47 73 64 58
Franța

Slovenija

Recordati Rare Diseases
Tel: +33 (0)1 47 73 64 58
Francija

Slovenská republika

Recordati Rare Diseases
Tel: +33 (0)1 47 73 64 58
Francúzsko

Suomi/Finland

Recordati AB.
Puh/Tel : +46 8 545 80 230
Sverige

Sverige

Recordati AB.
Tel : +46 8 545 80 230

United Kingdom

Recordati Rare Diseases UK Ltd.
Tel: +44 (0)1491 414333

Þessi fylgiseðill var síðast uppfærður í

Ítarlegar upplýsingar um lyfið eru birtar á vef Lyfjastofnunar Evrópu <http://www.ema.europa.eu>.
Þar eru líka tenglar á aðra vefi um sjaldgæfa sjúkdóma og lyf við þeim.

Upplýsingar á íslensku eru á <http://www.serlyfjaskra.is>.