



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Riassunto destinato al pubblico

Cystadane

betaina anidra

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Cystadane. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Cystadane.

Per informazioni pratiche sull'uso di Cystadane i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Cystadane?

Cystadane è un medicinale usato nel trattamento dell'omocistinuria, una malattia ereditaria nella quale l'aminoacido metionina non può essere scomposto e per questo si accumula nell'organismo causando un'ampia serie di sintomi, tra cui, compromissione della vista, debolezza ossea e disturbi circolatori.

È utilizzato insieme ad altri trattamenti, quali vitamina B6 (piridossina), vitamina B12 (cobalamina), folato e una dieta specifica.

Cystadane contiene il principio attivo betaina anidra.

Poiché il numero di pazienti affetti da omocistinuria è basso, la malattia è considerata "rara" e Cystadane è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 9 luglio 2001.

Come si usa Cystadane?

Il trattamento con Cystadane deve essere controllato da un medico esperto nel trattamento di pazienti affetti da omocistinuria.

Cystadane è disponibile come polvere da somministrare per bocca. La dose standard di Cystadane è di 100 mg al giorno per chilogrammo di peso corporeo, suddivisi in due dosi uguali. La dose può essere aggiustata in base alla risposta al trattamento (monitorata attraverso la misurazione dei livelli di



omocisteina nel sangue). Lo scopo del trattamento è mantenere i livelli plasmatici di omocisteina al di sotto di 15 $\mu\text{mol/L}$. Questo risultato si ottiene solitamente entro un mese.

Assieme a Cystadane vengono forniti 3 cucchiari dosatori, che erogano 100 mg, 150 mg e 1 g di polvere. La dose deve essere completamente disciolta in acqua, succo, latte, alimenti formulati per neonati o cibo e deve essere ingerita subito dopo la miscelazione.

Come agisce Cystadane?

La betaina è una sostanza naturale estratta dalla barbabietola da zucchero. Nell'omocistinuria la betaina riduce i livelli plasmatici di omocisteina trasformando l'omocisteina nell'aminoacido metionina. In questo modo migliorano i sintomi della malattia.

Quali benefici di Cystadane sono stati evidenziati negli studi?

La ditta ha presentato dati su Cystadane provenienti dalla letteratura scientifica. Tra questi vi erano 202 relazioni che descrivono gli effetti di Cystadane, somministrato a varie dosi, sui livelli di omocisteina in pazienti affetti da omocistinuria di diversa età. Per 140 pazienti sono state fornite inoltre informazioni sui sintomi, la dose e la durata del trattamento, e altri farmaci assunti contemporaneamente. La maggior parte dei pazienti assumeva anche vitamina B6 o B12, o folato. Le informazioni derivanti da tali studi sono state confrontate con le relazioni pubblicate che descrivono l'esito osservato nei pazienti non trattati affetti dalla stessa malattia.

I pazienti che hanno assunto Cystadane hanno mostrato maggiori riduzioni nei livelli di omocisteina rispetto ai pazienti non trattati, associate a un miglioramento dei sintomi a carico del sistema cardiovascolare (cuore e vasi sanguigni) e al miglioramento dei problemi di sviluppo riferiti da circa tre quarti dei pazienti in cura con Cystadane. Il medicinale è risultato efficace nel trattamento di pazienti affetti da tutti e tre i tipi di omocistinuria.

Quali sono i rischi associati a Cystadane?

Gli effetti indesiderati più comuni di Cystadane (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono livelli plasmatici elevati di metionina. Nei pazienti che assumono Cystadane è necessario monitorare i livelli di metionina, in quanto un aumento di tali livelli può portare a edema cerebrale (gonfiore del cervello). I pazienti che presentano sintomi di edema cerebrale quali cefalee mattutine con vomito o alterazioni visive devono avvertire il proprio medico, poiché il trattamento con Cystadane può dover essere interrotto.

Per l'elenco completo degli effetti indesiderati e delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché Cystadane è approvato?

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che, nonostante i limitati studi sistematici condotti su Cystadane, il medicinale è utile come terapia aggiuntiva nel trattamento dell'omocistinuria, come integratore di terapie a base di vitamine e in associazione a una dieta specifica. Il comitato fa notare che Cystadane non sostituisce altri trattamenti.

Il CHMP ha ritenuto che i benefici di Cystadane siano superiori ai rischi individuati come trattamento aggiuntivo dell'omocistinuria, se utilizzato conformemente alle indicazioni del prodotto, e ne ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Cystadane?

La ditta che commercializza Cystadane istituirà un registro dei pazienti che assumono il medicinale per monitorarne la sicurezza. In particolare, terrà sotto controllo i casi di edema cerebrale, che sono stati osservati in un numero ridotto di pazienti nel corso della sperimentazione del medicinale.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Cystadane sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Altre informazioni su Cystadane

Il 15 febbraio 2007 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Cystadane, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Cystadane, consultare il sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Per maggiori informazioni sulla terapia con Cystadane, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Cystadane è disponibile sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 10-2016.