



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Cystadane

bezūdens betaīns

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Cystadane*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra ir vērtējusi šīs zāles, lai ieteiktu to reģistrāciju Eiropas Savienībā un sniegtu lietošanas nosacījumus. Tas nav paredzēts kā praktiski ieteikumi par *Cystadane* lietošanu.

Lai saņemtu praktisku informāciju par *Cystadane* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsaazinās ar ārstu vai farmaceitu.

Kas ir *Cystadane* un kāpēc tās lieto?

Cystadane ir zāles, ko lieto homocistinūrijas ārstēšanai, kas ir iedzimta slimība, kuras gadījumā aminoskābe homocisteīns nevar noārdīties un tādēļ uzkrājas organismā. Tas izraisa dažādus simptomus, piemēram, pavājinātu redzi, trauslus kaulus un asinsrites problēmas.

Šīs zāles tiek lietotas kopā ar cita veida ārstēšanu, piemēram, B₆ vitamīnu (piridoksīnu), B₁₂ vitamīnu (kobalamīnu), folātiem un speciālu diētu.

Cystadane satur aktīvo vielu bezūdens betaīnu.

Tā kā homocistinūrijas pacientu skaits ir mazs, šo slimību uzskata par retu un 2001. gada 9. jūlijā *Cystadane*tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss.

Kā lieto *Cystadane*?

Ārstēšana ar *Cystadane* jāsāk ārstam, kuram ir pieredze homocistinūrijas pacientu ārstēšanā.

Cystadane ir pieejamas iekšķīgi lietojama pulvera veidā. *Cystadane* standartdeva ir 100 mg uz kilogramu ķermeņa svara dienā, sadalot zāles divās vienādās devās. Devu var pielāgot atkarībā no reaģēšanas uz ārstēšanu (ko uzrauga, mērot homocisteīna līmeni asinīs). Ārstēšanas mērķis ir uzturēt homocisteīna līmeņus zem 15 mikromoliem vai pēc iespējas zemu. To parasti panāk mēneša laikā.



Cystadane tiek piegādātas ar trim mērkarotēm, lai nomērītu 100 mg, 150 mg un 1 g pulvera. Pulveris ir pilnībā jāizšķīdina ūdenī, sulā, pienā, formulā vai ēdienā tieši pirms ieņemšanas.

Kā *Cystadane* darbojas?

Betaīns ir dabas viela, ko ekstrahē no cukurbietēm. Homocistinūrijas gadījumā betaīns samazina homocisteīna līmeņus asinīs, pārvēršot homocisteīnu par aminoskābi metionīnu. Tas palīdz uzlabot slimības simptomus.

Kādas bija *Cystadane* priekšrocības šajos pētījumos?

Uzņēmums sniedza informāciju par *Cystadane* no zinātniskās literatūras. Tajā bija iekļauti 202 ziņojumi, kuros aprakstīta *Cystadane* iedarbība pie dažādām devām uz homocisteīna līmeņiem homocistinūrijas dažāda vecuma pacientiem. Par 140 pacientiem bija dota arī informācija par pacientu simptomiem, devu un ārstēšanas ilgumu, kā arī citām lietotajām zālēm. Lielākā daļa pacientu lietoja arī B₆ vai B₁₂ vitamīnus, vai arī folātus. Informāciju no šiem pētījumiem salīdzināja ar publicētajiem ziņojumiem, kuros aprakstīts neārstētu šīs slimības pacientu iznākums.

Pacientiem, kuri lietoja *Cystadane*, homocisteīna līmenis samazinājās vairāk nekā neārstētiem pacientiem. Tas notika saistībā ar to simptomu uzlabošanu, kas ietekmē sirds un asinsvadu sistēmu (sirdi un asinsvadus), kā arī ar attīstības problēmu uzlabošanu apmēram trim ceturtdaļām pacientu, kuri lietoja *Cystadane*. Zāles bija efektīvas pacientiem ar visiem trim homocistinūrijas veidiem.

Kāds risks pastāv, lietojot *Cystadane*?

Visbiežāk novērotās *Cystadane* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 pacientam) ir paaugstināti metionīna līmeņi asinīs. Metionīna līmeņi ir jānovēro pacientiem, kuri lieto *Cystadane*, jo to rezultātā var attīstīties cerebrālā edēma (smadzeņu tūska). Pacientiem ar cerebrālās edēmas simptomiem, piemēram, rīta galvassāpēm ar vemšanu vai redzes izmaiņām, ir jāvērsas pie ārsta, jo varbūt ir jāpārtrauc ārstēšana ar *Cystadane*.

Pilns visu blakusparādību un ierobežojumu saraksts ir atrodams lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Cystadane* tika apstiprinātas?

Aģentūras Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) nolēma, ka, lai gan par *Cystadane* ir maz sistēmisku pētījumu, šīs zāles ir noderīgas, pievienojot esošajai homocistinūrijas terapijai, piemēram, vitamīnu piedevām vai speciālai diētai. Komiteja atzīmēja, ka ar *Cystadane* nevar aizstāt citas terapijas.

Komiteja nolēma, ka *Cystadane* ieguvumi atsvēr to risku homocistinūrijas papildu ārstēšanā, ja tās tiek lietotas saskaņā ar to indikāciju. Komiteja ieteica izsniegt *Cystadane* reģistrācijas apliecību.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Cystadane* lietošanu?

Uzņēmums, kas ražo *Cystadane*, izveidos to pacientu reģistru, kuri lieto šīs zāles, lai novērotu to drošumu. Uzņēmums īpaši novēros cerebrālās edēmas gadījumus, ko zāļu testēšanas laikā novēroja nelielam pacientu skaitam.

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti arī ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Cystadane* lietošanu.

Cita informācija par *Cystadane*

Eiropas Komisija 2007. gada 15. februārī izsniedza *Cystadane* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Cystadane* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lai saņemtu sīkāku informāciju par ārstēšanu ar *Cystadane*, izlasiet zāļu lietošanas instrukciju (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinieties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Cystadane* ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 10.2016.