



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/584572/2013
EMA/H/C/002465

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Procysbi

merkaptamīns

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Procysbi*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra novērtēja šīs zāles, pirms ieteikt tās reģistrēt ES un sniegt ieteikumus par *Procysbi* lietošanu. Tas nav paredzēts kā praktiski ieteikumi par *Procysbi* lietošanu.

Lai iegūtu praktisku informāciju par *Procysbi* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsažinās ar ārstu vai farmaceitu.

Kas ir *Procysbi* un kāpēc tās lieto?

Procysbi ir zāles, kas satur aktīvo vielu merkaptamīnu (ko dēvē arī par cisteamīnu). Tās lieto pacientiem ar nefropātisku (nieru) cistinozi. Cistinoze ir iedzimta slimība, kuras gadījumā šūnās, īpaši nierēs un acīs, veidojas pārāk daudz cistīna (aminoskābes, kas dabīgā veidā sastopama organismā), kas izraisa šo orgānu bojājumus.

Sakarā ar to, ka cistinozes pacientu skaits ir mazs un šo slimību uzskata par retu, 2010. gada 20. septembrī *Procysbi* tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Procysbi ir hibrīdzāles. Tas nozīmē, ka tās ir līdzīgas atsauces zālēm, kas satur tādu pašu aktīvo vielu, bet *Procysbi* ir pieejams tādā zāļu formā, kas nodrošina aizkavētu aktīvās vielas izdalīšanos organismā. *Procysbi* atsauces zāles ir *Cystagon*.

Kā lieto *Procysbi*?

Procysbi var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāuzsāk ārsta, kuram ir pieredze cistinozes ārstēšanā, uzraudzībā.

Procysbi ir pieejams zarnās šķīstošu kapsulu veidā (25 mg un 75 mg). "Zarnās šķīstošas" nozīmē, ka kapsulu saturs nesadalījies iziet caur kuņģi un nonāk zarnās. Ieteicamā dienas deva ir aprēķināta atbilstoši ķermeņa virsmas laukumam — 1,30 g uz m², sadalot to divās reizes devās, ko lieto ik pēc 12 stundām. Cistīna līmenis leikocītos (ko mēra kā nmol hemicistīna uz mg leikocītu olbaltumvielu) vai



alternatīvi merkaptamīna koncentrācija organismā ir jākontrolē un jāizmanto devas pielāgošanai. Deva nekādā gadījumā nedrīkst pārsniegt 1,95 g uz m² dienā. Plašāka informācija atrodama zāļu lietošanas instrukcijā.

Kā *Procysbi* darbojas?

Procysbi aktīvā viela merkaptamīns reaģē ar cistīnu, veidojot citu aminoskābi, ko dēvē par cisteīnu, un savienojumu, ko dēvē par cisteīna-cisteamīna sāli. Organisms spēj izvadīt šo sāli no šūnām. Tādēļ cistīna daudzums orgānos samazinās, un tas ierobežo šo orgānu bojājumus.

Kādas bija *Procysbi* lietošanas priekšrocības šajos pētījumos?

Ir pierādīts, ka, lietojot šīs zāles ik pēc 12 stundām, *Procysbi* vismaz tikpat efektīvi kā *Cystagon*, lietojot ik pēc sešām stundām, uztur cistīna līmeni leukocītos pieņemamā līmenī (mazāk nekā 1 nmol hemicistīna uz mg leukocītu olbaltumvielu). Pamatpētījumā, kurā bija iesaistīti 43 pacienti ar nefropātisku cistinozi, trīs nedēļu ārstēšanas periodā ar divām zālēm leukocītos nekonstatēja nozīmīgas vidējā cistīna līmeņa atšķirības. Līmenis bija 0,51 nmol/mg, ja lietoja *Procysbi*, salīdzinājumā ar 0,44 nmol/mg, lietojot *Cystagon*.

Kāds risks pastāv, lietojot *Procysbi*?

Visbiežāk novērotās *Procysbi* blakusparādības (kuras var ietekmēt vairāk nekā 1 pacientu no 10) ir ēstgribas zudums, vemšana, slikta dūša (nelabums), caureja, letarģija (enerģijas trūkums) un pireksija (drudzis). Pilns visu *Procysbi* izraisīto blakusparādību saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Procysbi nedrīkst lietot cilvēkiem, kuriem ir paaugstināta jutība (alerģija) pret kādu merkaptamīna formu, citu sastāvdaļu vai penicilamīnu. To nedrīkst lietot arī sievietēm, kuras baro bērnu ar krūti.

Kāpēc *Procysbi* tika apstiprinātas?

Aģentūras Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (*CHMP*) nolēma, ka pacientu ieguvums, lietojot *Procysbi*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica tās apstiprināt lietošanai ES. *CHMP* ņēma vērā, ka ir pierādīts, ka *Procysbi* ir vismaz tikpat efektīvs kā *Cystagon*, uzturot cistīna līmeni leukocītos pieņemamā līmenī. Komiteja arī uzskatīja, ka sagaidāma cistinozes slimnieku ārstēšanas panesamības un dzīves kvalitātes uzlabošanās, jo zarnās šķīstošā zāļu forma ir jālieto retāk. Attiecībā uz drošumu *CHMP* uzskatīja, ka merkaptamīna drošuma profils ir labi zināms un ir paredzams, ka *Procysbi* drošums būs līdzīgs kā atsauces zālēm.

Kas tiek darīts, lai nodrošinātu nekaitīgu *Procysbi* lietošanu?

Lai nodrošinātu iespējami nekaitīgu *Procysbi* lietošanu, ir izstrādāts riska pārvaldības plāns. Pamatojoties uz šo plānu, *Procysbi* zāļu aprakstā ietverta drošuma informācija, kā arī lietošanas instrukcija, tostarp attiecīgi piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem.

Turklāt uzņēmums, kas tirgo *Procysbi*, izsniegs izglītojošu materiālu visiem ārstiem, kuri varētu parakstīt šīs zāles, norādot svarīgu informāciju par drošumu, tostarp par risku, ka zāles var kaitēt nedzimušam bērnam.

Cita informācija par *Procysbi*

Eiropas Komisija 06.09.2013 izsniedza *Procysbi* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Procysbi* EPAR teksts ir pieejams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Procysbi* atrodama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Procysbi* ir pieejams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 09.2013.