



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sommarju tal-EPAR għall-pubbliku

Cystadane

betaine anhydrous

Dan huwa sommarju tar-rapport pubbliku Ewropew ta' valutazzjoni (EPAR) għal Cystadane. Dan jispjega kif l-Aġenzija vvalutat il-medicina biex tirrakkomanda l-awtorizzazzjoni tiegħu fl-UE u l-kondizzjonijiet ta' użu tiegħu. Dan mhux intiż biex jipprovdi konsultazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Cystadane.

Għal informazzjoni Prattika dwar l-użu ta' Cystadane, il-pazjenti għandhom jaqraw il-fuljett ta' tagħrif jew jikkuntattjaw lit-tabib jew spizjar tagħhom.

X'inhu Cystadane u għal xiex jintuża?

Cystadane huwa medicina użata biex tikkura l-omoċistinurja, marda li tintiret fejn l-aċidu amminiku homocysteine ma jkunx jista' jtkisser u għalhekk jakkumula fil-ġisem. Dan jikkawża firxa wiesgħa ta' sintomi inkluż indeboliment fil-vista, għadam dgħajjed u problemi fis-sistema ċirkolatorja.

Dan jintuża ma' kuri oħrajn bħall-vitamina B6 (pyridoxine), il-vitamina B12 (cobalamin), il-folate u dieta speċjali.

Cystadane fiha is-sustanza attiva betaine anhydrous.

Peress li n-numru ta' pazjenti li jbatu minn omoċistinurja huwa baxx, il-marda hija kkunsidrata 'rari', u Cystadane ġie kklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina li tintuża f'mard rari) fid-9 ta' Lulju 2001.

Kif jintuża Cystadane?

Il-kura b'Cystadane għandha tiġi sorveljata minn tabib li għandu esperjenza fil-kura ta' pazjenti b'omoċistinurja.

Cystadane huwa disponibbli bħala trab li għandu jittiehed mill-ħalq. Id-doża standard ta' Cystadane hija 100 mg għal kull kilogramma tal-piż tal-ġisem kuljum, maqsuma f'żewġ dozi ndaqs. Id-doża tista' tiġi aġġustata skont ir-rispons għall-kura (issorveljat billi jitkejjel il-livell ta' homocysteine fid-demem).

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



L-għan tal-kura huwa li żżomm il-livelli ta' homocysteine fid-demm taħt il-15-il mikromola jew kemm jista' jkun baxxi. Dan normalment jinkiseb fi żmien xahar.

Cystadane jiġi bi 3 imġharef tal-kejl biex jitkejlu 100 mg, 150 mg u 1 g tat-trab. Dan għandu jinħall kompletament fl-ilma, fil-meraq, fil-ħalib, fil-formula jew fl-ikel minnufih qabel jittieħed.

Kif jaħdem Cystadane?

Betaine huwa sustanza naturali li hija estratta mill-pitrava taz-zokkor. Fl-omoċistinurja, betaine jnaqqas il-livelli ta' homocysteine fid-demm billi jittrasforma homocysteine fl-aċidu amminiku methionine. Dan jgħin biex itejjeb is-sintomi tal-marda.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Cystadane li ħarġu mill-istudji?

Il-kumpanija pprezentat informazzjoni dwar Cystadane mid-dokumentazzjoni xjentifika. Din kienet tinkludi 202 rapporti li ddeskrivew l-effetti ta' Cystadane, mogħti f'diversi dożi, fuq il-livelli ta' homocysteine f'pazjenti ta' diversi etajiet b'omoċistinurja. Għal 140 pazjent, kienet ukoll ipprovduta informazzjoni dwar is-sintomi tagħhom, id-doża u d-dewmien tal-kura, u mediċini oħra li kienu qed jittieħdu. Ħafna mill-pazjenti kienu qed jieħdu wkoll vitamini B6 jew B12, jew folate. L-informazzjoni minn dawn l-istudji ġiet ukoll imqabbla ma' rapporti ppubblikati li jiddeskrivu r-riżultat tal-pazjenti bil-marda mhux ikkurati.

Il-pazjenti li jieħdu Cystadane dehru li kellhom tnaqqis akbar fil-livelli ta' homocysteine minn pazjenti mhux ikkurati. Dan ġie assoċjat ma' titjib fis-sintomi li jaffettwaw is-sistema kardjovaskulari (il-qalb u l-vini/l-arterji) kif ukoll titjib fil-problemi marbuta mal-iżvilupp f'madwar tliet kwarti tal-pazjenti li kienu qegħdin jieħdu Cystadane. Il-mediċina kienet effikaċi f'pazjenti bit-tliet tipi kollha ta' omoċistinurja.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Cystadane?

L-effett sekondarju l-aktar komuni b'Cystadane (li deher f'aktar minn 1 minn kull 10) huwa dak tal-livelli elevati ta' methionine fid-demm. Il-livelli ta' methionine għandhom jiġu ssoveljati f'pazjenti li jieħdu Cystadane, peress li dan jista' jwassal għal edema ċerebrali (nefħa fil-moħħ). Il-pazjenti b'sintomi ta' edema ċerebrali, bħal uġiġħ ta' ras filgħodu bir-remettar, jew tibdil fil-vista għandhom jittkellmu mat-tabib tagħhom, peress li l-kura b'Cystadane jaf ikollha tiġi interrotta.

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet kollha, ara l-fuljett ta' tagħrif.

Għaliex ġie approvat Cystadane?

Il-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) tal-Aġenzija ddeċieda li, għalkemm hemm ftit studji sistematiċi ta' Cystadane, il-mediċina hija utli meta tiżdied mal-kuri eżistenti għal omoċistinurja, bħas-supplimentazzjoni tal-vitamina u l-użu ta' dieta speċjali. Il-Kumitat innota li Cystadane mhuwiex sostitut għal kuri oħrajn.

Il-Kumitat iddeċieda li l-benefiċċji ta' Cystadane huma akbar mir-riskji tiegħu fil-kura aġġuntiva ta' omoċistinurja, meta jintuża skont l-indikazzjoni tiegħu. Il-Kumitat irrakkomanda li Cystadane jingħata awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq.

X'miżuri qegħdin jitteħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Cystadane?

Il-kumpanija li tagħmel Cystadane se tistabilixxi reġistru ta' pazjenti li jieħdu l-medicina biex tissorvelja s-sigurtà tagħha. B'mod partikolari, il-kumpanija se tissorvelja każijiet ta' edema ċerebrali, li ġew osservati f'numru żgħir ta' pazjenti waqt l-ittestjar tal-medicina.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Cystadane.

Informazzjoni oħra dwar Cystadane

Il-Kummissjoni Ewropea tat awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-Unjoni Ewropea kollha għal Cystadane fil-15 ta' Frar 2007.

L-EPAR sħiħ għal Cystadane jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Għal aktar informazzjoni rigward il-kura b'Cystadane, aqra l-fuljett ta' tagħrif (parti wkoll mill-EPAR) jew ikkuntattja lit-tabib jew spizjar tiegħek.

Is-sommarju tal-opinjoni tal-Kumitat għall-Prodotti Medċinali Orfni għal Cystadane jinstab fis-sit elettroniku tal-Aġenzija: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Dan is-sommarju ġie aġġornat l-aħħar fi: 10-2016.