



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Cystadane

betaine anhydraat

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Cystadane. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Cystadane.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Cystadane.

Wat is Cystadane en wanneer wordt het voorgeschreven?

Cystadane is een geneesmiddel voor de behandeling van homocystinurie, een erfelijke (genetische) aandoening waarbij het lichaam het aminozuur homocysteïne niet kan afbreken, zodat dit zich in het lichaam opstapelt. Dit veroorzaakt een brede verscheidenheid aan symptomen, zoals zichtstoornissen, zwakke botten en problemen met de bloedcirculatie.

Cystadane wordt gebruikt met andere middelen, zoals vitamine B6 (pyridoxine), vitamine B12 (cobalamine), folaat en een specifiek dieet.

Cystadane bevat de werkzame stof betaine anhydraat .

Aangezien het aantal patiënten met homocystinurie klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Cystadane op 9 juli 2001 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Hoe wordt Cystadane gebruikt?

Behandeling met Cystadane moet onder toezicht staan van een arts die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met homocystinurie.

Cystadane is verkrijgbaar als een poeder dat via de mond moet worden ingenomen. De gebruikelijke dosering Cystadane is 100 mg per kg lichaamsgewicht per dag verdeeld over twee gelijke doses. De

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



dosering kan worden aangepast aan de hand van de respons op de behandeling (die wordt gecontroleerd door het meten van het homocysteïnegehalte in het bloed). Doel van de behandeling is het homocysteïnegehalte onder de 15 micromol per liter te houden of zo laag mogelijk. Dit wordt meestal binnen een maand bereikt.

Cystadane wordt geleverd met drie maatlepels voor het afmeten van 100 mg, 150 mg en 1 g van het poeder. Het moet volledig worden opgelost in water, sap, melk, flesvoeding of voedsel en moet onmiddellijk na het mengen worden ingenomen.

Hoe werkt Cystadane?

Betaïne is een natuurlijke stof die wordt gewonnen uit suikerbieten. Bij homocystinurie verlaagt betaïne het homocysteïnegehalte in het bloed doordat het homocysteïne omzet in het aminozuur methionine. Dit helpt de symptomen van de ziekte te verlichten.

Welke voordelen bleek Cystadane tijdens de studies te hebben?

De firma heeft informatie over Cystadane uit de wetenschappelijke literatuur overgelegd, 202 verslagen waarin de effecten van Cystadane in uiteenlopende doseringen op het homocysteïnegehalte bij homocystinuriepatiënten van uiteenlopende leeftijd worden beschreven. Van 140 patiënten werd ook informatie ingediend over hun symptomen, de dosis en de duur van de behandeling en andere gebruikte geneesmiddelen. De meeste patiënten namen ook vitamine B6 of B12 of folaat in. De informatie uit deze studies werd vergeleken met gepubliceerde verslagen waarin de situatie van onbehandelde patiënten met de aandoening wordt beschreven.

Bij patiënten die met Cystadane werden behandeld, bleek het homocysteïnegehalte in het bloed verder te dalen dan bij onbehandelde patiënten. Dit werd gelieerd aan een verbetering van de symptomen die het cardiovasculair systeem (hart en bloedvaten) betreffen en een vermindering van ontwikkelingsproblemen bij ongeveer driekwart van de patiënten die Cystadane gebruikten. Het middel was werkzaam bij patiënten met alle drie typen homocystinurie.

Welke risico's houdt het gebruik van Cystadane in?

De meest voorkomende bijwerking van Cystadane (waargenomen bij meer dan 1 op de 10 patiënten) is een verhoogd gehalte aan methionine in het bloed. Bij patiënten die Cystadane gebruiken moet het methioninegehalte worden gecontroleerd, aangezien dit mogelijk kan leiden tot hersenoedeem (zwellen in de hersenen). Patiënten die de symptomen van hersenoedeem vertonen, zoals ochtendhoofdpijn met braken of stoornissen in het gezichtsvermogen, moeten hun arts raadplegen, omdat de behandeling met Cystadane mogelijk moet worden onderbroken.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen en beperkende voorwaarden.

Waarom is Cystadane goedgekeurd?

Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) heeft geconcludeerd dat, hoewel er weinig systematische studies naar Cystadane beschikbaar waren, het middel zinvol is wanneer het wordt toegevoegd aan bestaande behandelingen van homocystinurie, zoals vitaminesuppletie en het volgen van een specifiek dieet. Het CHMP heeft aangetekend dat Cystadane geen vervanging vormt voor andere behandelwijzen.

Het CHMP heeft besloten dat de voordelen van Cystadane groter zijn dan de risico's ervan voor de ondersteunende behandeling van homocystinurie, wanneer het wordt gebruikt volgens de

therapeutische indicatie. Het Comité heeft aanbevolen een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van Cystadane.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Cystadane te waarborgen?

De fabrikant van Cystadane zal een register aanleggen van patiënten die het geneesmiddel gebruiken om de veiligheid ervan te controleren. Het bedrijf zal vooral de gevallen van hersenoedeem, dat tijdens het testen van het geneesmiddel bij een klein aantal patiënten werd waargenomen, nauwlettend volgen.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Cystadane, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Overige informatie over Cystadane

De Europese Commissie heeft op 15 februari 2007 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Cystadane verleend.

Het volledige EPAR voor Cystadane is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Cystadane.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Cystadane is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designations).

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 10-2016.