



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumo do EPAR destinado ao público

Cystadane

betaína anidra

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Cystadane. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Cystadane.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Cystadane, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

O que é o Cystadane e para que é utilizado?

O Cystadane é um medicamento utilizado no tratamento da homocistinúria, uma doença hereditária em que o aminoácido homocisteína não pode ser decomposto e se acumula no organismo. Tal causa uma ampla variedade de sintomas, incluindo problemas de visão, ossos fracos e problemas de circulação.

É utilizado em associação com outros tratamentos, como vitamina B6 (piridoxina), vitamina B12 (cobalamina), folatos e uma dieta especial.

Contém a substância ativa betaína anidra.

Dado o número de doentes afetados por homocistinúria ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Cystadane foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 9 de julho de 2001.

Como se utiliza o Cystadane?

O tratamento com o Cystadane deve ser supervisionado por um médico com experiência no tratamento de doentes com homocistinúria.

O Cystadane está disponível na forma de um pó a tomar por via oral. A dose padrão do Cystadane é de 100 mg por quilograma de peso corporal por dia, repartidos em duas doses iguais. A dose pode ser



ajustada de acordo com a resposta ao tratamento (monitorizada pela medição dos níveis de homocisteína no sangue). O objectivo do tratamento é manter os níveis de homocisteína no sangue abaixo dos 15 micromoles, ou no nível mais baixo possível. Isto ocorre habitualmente no prazo de um mês.

O Cystadane é fornecido em conjunto com 3 colheres-medida que medem, respetivamente, 100 mg, 150 mg e 1 g do pó. Este deve ser totalmente dissolvido em água, sumo, leite, leite de fórmula ou alimentos e ser ingerido imediatamente após a mistura.

Como funciona o Cystadane?

A betaína é uma substância natural que é extraída da beterraba sacarina. Na homocistinúria, a betaína reduz os níveis de homocisteína no sangue ao transformar a homocisteína no aminoácido metionina. Isto ajuda a melhorar os sintomas da doença.

Quais os benefícios demonstrados pelo Cystadane durante os estudos?

A empresa apresentou informações sobre o Cystadane a partir de literatura científica. Estas incluíram 202 relatórios que descrevem os efeitos do Cystadane, administrado em várias doses, sobre os níveis de homocisteína em doentes com homocistinúria de idades variadas. Relativamente a 140 doentes, foi também fornecida informação sobre os seus sintomas, a dose e a duração do tratamento, bem como outros medicamentos que estavam a tomar. A maioria dos doentes estava também a tomar vitaminas B6 ou B12, ou folato. A informação obtida a partir destes estudos foi comparada com relatórios publicados que descreviam o resultado no caso de doentes não tratados para esta doença.

Os doentes que tomavam o Cystadane pareciam apresentar uma maior redução dos níveis de homocisteína do que os doentes não tratados. Tal foi associado a uma melhoria dos sintomas que afetam o sistema cardiovascular (coração e os vasos sanguíneos), bem como a uma melhoria dos problemas de desenvolvimento em cerca de três quartos dos doentes que tomavam Cystadane. O medicamento foi eficaz em doentes com os três tipos de homocistinúria.

Quais são os riscos associados ao Cystadane?

O efeito secundário mais frequente associado ao Cystadane (observado em mais de 1 doente em 10) foi a presença de níveis elevados de metionina no sangue. Os níveis de metionina devem ser monitorizados nos doentes que tomam o Cystadane, uma vez que podem causar edema cerebral (inchaço no cérebro). Os doentes com sintomas de edema cerebral, tais como dores de cabeça matinais acompanhadas de vômitos ou alterações da visão, devem consultar o médico, já que o tratamento com o Cystadane poderá ter de ser interrompido.

Para a lista completa dos efeitos secundários e restrições de utilização, consulte o Folheto Informativo.

Por que foi aprovado o Cystadane?

O Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) concluiu que, apesar de existirem poucos estudos sistemáticos do Cystadane, o medicamento é útil quando adicionado a tratamentos existentes para a homocistinúria, tais como a suplementação vitamínica e a utilização de uma dieta especial. O Comité observou que o Cystadane não é um substituto de outros tratamentos.

O Comité decidiu que os benefícios do Cystadane são superiores aos seus riscos no tratamento adjuvante da homocistinúria, quando utilizado conforme a sua indicação. Recomendou que fosse concedida autorização de introdução no mercado ao Cystadane.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Cystadane?

A empresa que fabrica o Cystadane criará um registo de doentes que tomam o medicamento para monitorizar a sua segurança. Em particular, a empresa monitorizará casos de edema cerebral, que foram observados num pequeno número de doentes durante a fase de testes do medicamento.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz do Cystadane.

Outras informações sobre o Cystadane

Em 15 de fevereiro de 2007, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Cystadane.

O EPAR completo relativo ao Cystadane pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mais informações sobre o tratamento com o Cystadane, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Cystadane pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 10-2016.