



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/584580/2013  
EMA/H/C/002465

## Resumo do EPAR destinado ao público

---

# Procysbi

## mercaptopamina

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Procysbi. 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 Procysbi.

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

### O que é o Procysbi e para que é utilizado?

O Procysbi é um medicamento que contém a substância ativa mercaptopamina (também chamada cisteamina). É utilizado em doentes com cistinose nefropática (que afeta os rins). A cistinose é uma doença hereditária na qual se verifica uma acumulação de quantidades excessivas de cistina, um aminoácido de ocorrência natural no organismo, no interior das células, sobretudo nos rins e nos olhos, causando lesões nestes órgãos.

Dado o número de doentes afetados por cistinose ser reduzido, a doença é considerada «rara», pelo que o Procysbi foi designado «medicamento órfão» (medicamento utilizado em doenças raras) em 20 de setembro de 2010.

O Procysbi é um «medicamento híbrido». Isto significa que o Procysbi é semelhante a um «medicamento de referência» que contém a mesma substância ativa, mas existe disponível numa formulação que permite uma libertação tardia da substância ativa no organismo. O medicamento de referência do Procysbi é o Cystagon.

### Como se utiliza o Procysbi?

O Procysbi só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado sob a supervisão de um médico com experiência no tratamento da cistinose.



O Procysbi está disponível na forma de cápsulas gastrorresistentes (25 e 75 mg). «Gastrorresistente» significa que o conteúdo das cápsulas passa pelo estômago sem ser decomposto, até atingir o intestino. A dose diária recomendada é calculada de acordo com a área de superfície corporal, como 1,30 g por m<sup>2</sup> dividido em 2 doses administradas a cada 12 horas. Os níveis de cistina nos glóbulos brancos (os quais são medidos como nmol de hemicistina por mg de proteína nos glóbulos brancos) ou, como alternativa, a concentração de mercaptamina no sangue, devem ser monitorizados e utilizados para ajustar a dose, a qual nunca deve exceder 1,95 g por m<sup>2</sup> por dia. Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

## **Como funciona o Procysbi?**

A substância ativa no Procysbi, a mercaptamina, reage com a cistina para formar um outro aminoácido, denominado cisteína, e um composto chamado sal de cisteína-cisteamina. O organismo tem capacidade para eliminar este sal das células. A quantidade de cistina nos órgãos é, por conseguinte, reduzida, limitando, assim, as lesões neles causadas.

## **Quais os benefícios demonstrados pelo Procysbi durante os estudos?**

Foi demonstrado que a administração do Procysbi a cada 12 horas é, pelo menos, tão eficaz quanto o Cystagon administrado a cada 6 horas na manutenção de níveis aceitáveis de cistina nos glóbulos brancos (menos de 1 nmol de hemicistina por mg de proteína nos glóbulos brancos). Num estudo principal que incluiu 43 doentes com cistinose nefropática, não se observou uma diferença significativa entre os níveis médios de cistina nos glóbulos brancos durante um tratamento de 3 semanas com os dois medicamentos. Os níveis corresponderam a 0,51 nmol/mg com o Procysbi, comparativamente com 0,44 nmol/mg com o Cystagon.

## **Quais são os riscos associados ao Procysbi?**

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Procysbi (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são perda de apetite, vômitos, náuseas (sensação de enjoo), diarreia, letargia (falta de energia) e pirexia (febre). Para a lista completa dos efeitos secundários comunicados relativamente ao Procysbi, consulte o Folheto Informativo.

O Procysbi é contraindicado em pessoas hipersensíveis (alérgicas) a qualquer forma de mercaptamina, a qualquer outro componente do medicamento ou à penicilamina. Do mesmo modo, não pode ser utilizado em mulheres que estejam a amamentar.

## **Por que foi aprovado o Procysbi?**

O Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da Agência concluiu que os benefícios do Procysbi são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE. O CHMP registou que o Procysbi demonstrou ser pelo menos tão eficaz quanto o Cystagon na manutenção de níveis aceitáveis de cistina nos glóbulos brancos. O Comité considerou ainda que, devido à sua administração menos frequente, se prevê que a formulação gastrorresistente aumente a adesão ao tratamento e a qualidade de vida dos doentes com cistinose. No que se refere à segurança do medicamento, o CHMP considerou que o perfil de segurança da mercaptamina está bem estabelecido, sendo de prever que a segurança do Procysbi seja semelhante à do medicamento de referência.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Procysbi?**

Foi desenvolvido um Plano de Gestão do Risco para garantir a utilização segura do Procysbi. Com base neste plano, foram incluídas informações de segurança no Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo do Procysbi, incluindo as precauções apropriadas a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes.

Adicionalmente, a empresa responsável pela comercialização do Procysbi fornecerá a todos os médicos que se prevê prescrevam o medicamento materiais educacionais contendo informações de segurança importantes, incluindo o risco de o medicamento ser prejudicial para o feto.

## **Outras informações sobre o Procysbi**

Em 06.09.2013, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Procysbi.

O EPAR completo sobre o Procysbi pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Para mais informações sobre o tratamento com o Procysbi, 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 Procysbi pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Este resumo foi atualizado pela última vez em 09-2013.