



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Súhrn správy EPAR pre verejnosť

---

# Cystadane

bezvodý betaín

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Cystadane. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Cystadane.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Cystadane, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

### Čo je liek Cystadane a na čo sa používa?

Cystadane je liek, ktorý sa používa na liečbu homocystinúrie, dedičného ochorenia, pri ktorom sa aminokyselina homocysteín nemôže rozložiť a hromadí sa tele. Toto spôsobuje širokú škálu symptómov vrátane porúch videnia, slabých kostí a problémov s obehovou sústavou.

Používa sa s inou liečbou, ako napr. vitamínom B6 (pyridoxínom), vitamínom B12 (kobalamínom), folátom a špeciálnou diétou.

Liek Cystadane obsahuje účinnú látku bezvodý betaín.

Keďže je počet pacientov s homocystinúriou nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Cystadane 9. júla 2001 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

### Ako sa liek Cystadane užíva?

Liečbu liekom Cystadane má sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou pacientov s homocystinúriou.

Cystadan je k dispozícii vo forme prášku podávaného do úst. Zvyčajná denná dávka lieku Cystadane je 100 mg na kilogram telesnej hmotnosti, podáva sa tak, že sa rozdelí do dvoch rovnakých dávok. Dávka sa môže upraviť podľa odpovede na liečbu (monitorovanú meraním hladiny homocysteínu v



krvi). Cieľom liečby je udržať hladinu homocysteínu v krvi pod 15 mikromolov alebo tak nízko, ako je to možné. Zvyčajne sa to dosiahne v priebehu jedného mesiaca.

Liek Cystadane sa dodáva s tromi odmernými lyžicami, ktorými sa odmeriava 100 mg, 150 mg a 1 g prášku. Bezprostredne pred užitím sa má úplne rozpustiť vo vode, v džúze, mlieku, dojčenskej výžive alebo jedle.

## **Akým spôsobom liek Cystadane účinkuje?**

Betaín je prírodná látka, ktorá sa extrahuje z cukrovej repy. Pri homocystinúrii betaín znižuje hladinu homocysteínu v krvi premenou homocysteínu na aminokyselinu metionín, a tak pomáha zlepšovať symptómy tohto ochorenia.

## **Aké prínosy lieku Cystadane boli preukázané v štúdiách?**

Spoločnosť predložila údaje o lieku Cystadane z odbornej literatúry. Zahŕňajú 202 správ, v ktorých sú opísané účinky lieku Cystadane podávaného v rôznych dávkach na úpravu hladiny homocysteínu u pacientov rôzneho veku s homocystinúriou. V prípade 140 pacientov boli poskytnuté údaje aj o ich symptómoch, dávke a trvaní liečby a iných užívaných liekoch. Väčšina pacientov užívala aj vitamíny B6 alebo B12 alebo folát. Údaje z týchto štúdií sa porovnávali s publikovanými správami, v ktorých boli opísané výsledky neliečených pacientov s týmto ochorením.

Pacienti užívajúci liek Cystadane mali podľa všetkého väčšie zníženie hladiny homocysteínu ako neliečení pacienti. Bolo to spojené so zlepšením symptómov, ktoré ovplyvňujú kardiovaskulárny systém (srdcové a krvné cievy), ako aj zlepšením vývojových problémov u približne troch štvrtín pacientov užívajúcich liek Cystadane. Liek bol účinný u pacientov so všetkými tromi typmi homocystinúrie.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Cystadane?**

Najčastejší vedľajší účinok pri užívaní lieku Cystadane (pozorovaný u viac ako 1 pacienta z 10) je zvýšená hladina metionínu v krvi. Hladina metionínu sa má u pacientov užívajúcich Cystadane monitorovať, keďže môže viesť k edému mozgu (opuchu mozgu). Pacienti s príznakmi edému mozgu, ako sú ranné bolesti hlavy spojené so zvracaním alebo zmeny videnia, majú informovať svojho lekára. Je možné, že liečbu liekom Cystadane bude potrebné prerušiť.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

## **Prečo bol liek Cystadane povolený?**

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry rozhodol, že aj napriek obmedzenému počtu systematických štúdií lieku Cystadane je liek prospešný, keď sa pridá k existujúcej liečbe homocystinúrie, ako sú napr. dopĺňanie vitamínov a špeciálna diéta. Výbor poznamenal, že liek Cystadane nie je náhradou inej liečby.

Výbor rozhodol, že prínosy lieku Cystadane, ak sa používa podľa terapeutickkej indikácie, boli v podpornej liečbe homocystinúrie väčšie ako jeho riziká. Výbor odporučil udeliť povolenie na uvedenie lieku Cystadane na trh.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Cystadane?**

Spoločnosť, ktorá vyrába liek Cystadane zostaví zoznam pacientov užívajúcich liek, aby monitorovalo jeho bezpečnosť. Spoločnosť bude zvlášť sledovať prípady edému mozgu, ktorý bol pozorovaný u nízkeho počtu pacientov počas testovania lieku.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Cystadane boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté tiež odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

### **Ďalšie informácie o lieku Cystadane**

Dňa 15. februára 2007 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Cystadane na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Cystadane sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete viac informácií o liečbe liekom Cystadane, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho lekára, resp. alebo lekárnik.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Cystadane sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 10-2016