



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/405339/2013
EMA/H/C/002465

Povzetek EPAR za javnost

Procysbi

merkaptamin

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Procysbi. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Procysbi naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Procysbi in za kaj se uporablja?

Procysbi je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino merkaptamin (ki ga imenujemo tudi cisteamin). Uporablja se pri bolnikih z nefropatsko (ledvično) cistinozo. Cistinoza je dedna bolezen, pri kateri se odvečne količine cistina, tj. aminokislina, ki je naravno prisotna v telesu, kopičijo znotraj celic, zlasti v ledvicah in očeh, ter jih poškodujejo.

Ker je bolnikov s cistinozo malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Procysbi 20. septembra 2010 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Procysbi je „hibridno zdravilo“. To pomeni, da je podobno „referenčnemu zdravilu“, ki vsebuje isto zdravilno učinkovino, vendar pa je zdravilo Procysbi na voljo v obliki pripravka, ki omogoča zapoznelo sproščanje zdravilne učinkovine v telesu. Referenčno zdravilo za zdravilo Procysbi je Cystagon.

Kako se zdravilo Procysbi uporablja?

Izdaja zdravila Procysbi je le na recept, zdravljenje z njim pa se sme uvesti samo pod nadzorom zdravnika, ki ima izkušnje z zdravljenjem cistinoze.

Zdravilo Procysbi je na voljo v obliki gastrorezistentnih kapsul (25 in 75 mg). „Gastrorezistentne“ pomeni, da vsebina kapsul preide skozi želodec v črevesje, ne da bi se pri tem razgradila. Priporočen dnevni odmerek se izračuna glede na telesno površino in znaša 1,30 g na m², daje pa se ga v dveh deljenih odmerkih vsakih 12 ur. Pri tem je treba spremljati koncentracijo cistina v belih krvnih celicah



(ki se izmeri kot nmol hemicistina na mg beljakovin belih krvnih celic) ali koncentracijo merkaptamina v krvi in na podlagi rezultatov prilagoditi odmerek, ki pa v nobenem primeru ne sme biti večji od 1,95 g na m² na dan. Za več informacij glejte navodilo za uporabo.

Kako zdravilo Procysbi deluje?

Zdravilna učinkovina v zdravilu Procysbi, merkaptamin, reagira s cistinom, pri čemer nastane druga aminokislina, imenovana cistein, in spojina, imenovana cistin-cisteaminova sol. Telo lahko to sol odstrani iz celic. Tako se zmanjša količina cistina v organih, s tem pa tudi njihove okvare.

Kakšne koristi je zdravilo Procysbi izkazalo v študijah?

Zdravilo Procysbi, ki so ga dajali vsakih 12 ur, je bilo vsaj tako učinkovito kot zdravilo Cystagon, ki so ga dajali vsakih 6 ur, pri ohranjanju sprejemljivih koncentracij cistina v belih krvnih celicah (manj kot 1 nmol hemicistina na mg beljakovin belih krvnih celic). V glavni študiji, v katero je bilo vključenih 43 bolnikov z nefropatsko cistinozo, med 3-tedenskim zdravljenjem z omenjenima zdraviloma niso opazili pomembnih razlik med povprečnimi koncentracijami cistina v belih krvnih celicah. Pri zdravilu Procysbi so bile koncentracije 0,51 nmol/mg, pri zdravilu Cystagon pa 0,44 nmol/mg.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Procysbi?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Procysbi (ki lahko prizadenejo več kot 1 osebo od 10) so izguba teka, bruhanje, navzeja (slabost), driska, letargija (pomanjkanje energije) in pireksija (povišana telesna temperatura). Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Procysbi, glejte navodilo za uporabo.

Zdravila Procysbi ne smejo uporabljati osebe, ki so preobčutljive za (alergične na) katero koli obliko merkaptamina, katero koli drugo sestavino zdravila ali penicilamin. Prav tako zdravila ne smejo uporabljati ženske, ki dojijo.

Zakaj je bilo zdravilo Procysbi odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) je zaključil, da so koristi zdravila Procysbi večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se odobri za uporabo v EU. CHMP je upošteval, da je bilo zdravilo Procysbi vsaj tako učinkovito kot zdravilo Cystagon pri ohranjanju sprejemljivih koncentracij cistina v belih krvnih celicah. Poleg tega je odbor menil, da je mogoče pričakovati, da bo gastrorezistenten pripravek zaradi manj pogostega odmerjanja pripomogel k večjemu upoštevanju navodil za zdravljenje in izboljšal kakovost življenja bolnikov s cistinozo. V zvezi z varnostjo zdravila je CHMP menil, da je varnostni profil merkaptamina že dobro znan in da naj bi bila varnost zdravila Procysbi podobna kot varnost referenčnega zdravila.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Procysbi?

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila Procysbi je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu s tem načrtom so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo za zdravilo Procysbi vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

Poleg tega bo družba, ki trži zdravilo Procysbi, zagotovila izobraževalno gradivo za vse zdravnike, ki naj bi predpisovali zdravilo, v katerega bodo vključene pomembne informacije o varnosti, vključno z opozorilom, da je lahko zdravilo škodljivo za nerojenega otroka.

Druge informacije o zdravilu Procysbi

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Procysbi, veljavno po vsej Evropski uniji, odobrila 06.09.2013.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Procysbi je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Procysbi preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Procysbi je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 09-2013.