



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Cystadane

betain vattenfritt

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Cystadane. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Cystadane ska användas.

Praktisk information om hur Cystadane ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Cystadane och vad används det för?

Cystadane är ett läkemedel som används för att behandla homocystinuri, en ärftlig sjukdom där aminosyran homocystein inte kan brytas ned och därför ansamlas i kroppen. Detta orsakar ett flertal symtom, däribland synnedsättning, svagt skelett och cirkulationsproblem.

Läkemedlet ges tillsammans med andra behandlingar, t.ex. vitamin B6 (pyridoxin), vitamin B12 (kobalamin), folsyra och en särskild diet.

Cystadane innehåller den aktiva substansen betain vattenfritt.

Eftersom antalet patienter med homocystinuri är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Cystadane klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 9 juli 2001.

Hur används Cystadane?

Behandling med Cystadane ska inledas av läkare som har erfarenhet av att behandla homocystinuri.

Cystadane finns som ett pulver som tas genom munnen. Standarddosen Cystadane är 100 mg per kg kroppsvikt per dag, som delas upp i två likadana doser. Dosen kan justeras beroende på behandlingssvaret (övervakas genom att nivån av homocystein i blodet mäts). Syftet med behandlingen är att hålla nivåerna av homocystein i blodet under 15 mikromol eller så låga som möjligt. Detta åstadkoms vanligen inom en månad.

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



Cystadane levereras med tre mätskedar för att mäta upp 100 mg, 150 mg och 1 g av pulvret. Det ska lösas upp helt i vatten, juice, mjölk, beredning eller föda omedelbart innan det intas.

Hur verkar Cystadane?

Betain är en naturlig substans som utvinns ur sockerbetor. Vid homocystinuri minskar betain nivåerna av homocystein i blodet genom att omvandla homocysteinet till aminosyran metionin. Detta hjälper till att mildra sjukdomssymtomen.

Vilken nytta med Cystadane har visats i studierna?

Företaget lade fram data om Cystadane från den vetenskapliga litteraturen. Detta innefattade 202 rapporter som beskriver de effekter som Cystadane hade i flera olika doser på nivåerna av homocystein hos patienter med homocystinuri i olika åldrar. För 140 patienter lämnades också uppgifter om symtom, dos och behandlingens varaktighet samt andra läkemedel som togs. De flesta patienterna tog också vitamin B6 eller B12 eller folsyra. Uppgifterna från dessa studier jämfördes med publicerade rapporter där resultatet för obehandlade patienter med sjukdomen beskrivs.

Nivåerna av homocystein tycks minska i högre grad hos patienter som tar Cystadane än hos obehandlade patienter. Detta kopplades till en förbättring av symtomen i det kardiovaskulära systemet (hjärtat och blodkärlen) och till en minskning av utvecklingsproblemen hos omkring tre fjärdedelar av patienterna som tog Cystadane. Läkemedlet var effektivt hos patienter med alla tre typerna av homocystinuri.

Vilka är riskerna med Cystadane?

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Cystadane (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) är förhöjda nivåer av metionin i blodet. Metioninnivåerna ska övervakas hos patienter som tar Cystadane då de kan leda till hjärnödeme (svullnad i hjärnan). Patienter med symtom på hjärnödeme, t.ex. huvudvärk och kräkningar på morgonen eller synförändringar, bör tala med sin läkare eftersom behandlingen med Cystadane kan behöva avbrytas.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför godkänns Cystadane?

Även om få systematiska studier har gjorts av Cystadane fann myndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) att läkemedlet är användbart som tillägg till befintliga behandlingar för homocystinuri, t.ex. vitamintillskott och särskild diet. Kommittén noterade att Cystadane inte är någon ersättning för andra behandlingar.

Kommittén fann att nyttan med Cystadane är större än riskerna vid tilläggsbehandling av homocystinuri när det används i enlighet med indikationen. Kommittén rekommenderade att Cystadane skulle godkännas för försäljning.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Cystadane?

Företaget som tillverkar Cystadane kommer att upprätta ett register över patienter som tar läkemedlet för att övervaka dess säkerhet. Framför allt kommer företaget att övervaka fall av hjärnödeme, som observerades hos ett litet antal patienter när läkemedlet testades.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Cystadane har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Mer information om Cystadane

Den 15 februari 2007 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Cystadane som gäller i hela EU.

EPAR för Cystadane finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Cystadane finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Cystadane från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 10-2016.