



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/584588/2013
EMA/H/C/002465

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Procysbi

merkaptamin

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Procysbi. 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 Procysbi ska användas.

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

Vad är Procysbi och vad används det för?

Procysbi är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen merkaptamin (även kallat cysteamin). Det ges till patienter med nefropatisk (njur-) cystinos. Cystinos är en ärftlig sjukdom som innebär att stora mängder av cystin, en aminosyra som finns naturligt i kroppen, ansamlas i celler, särskilt i njurarna och ögonen, och skadar dem.

Eftersom antalet patienter med cystinos är litet betraktas sjukdomen som sällsynt. Den 20 september 2010 klassificerades Procysbi som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar).

Procysbi är ett hybridläkemedel. Det betyder att det liknar ett "referensläkemedel" som innehåller samma aktiva substans, men Procysbi finns i en formulering som gör att frisättningen av den aktiva substansen i kroppen sker långsammare. Referensläkemedlet för Procysbi är Cystagon.

Hur används Procysbi?

Procysbi är receptbelagt och behandlingen ska inledas under överinseende av en läkare med erfarenhet av att behandla cystinos.

Procysbi är tillgängligt som enterokapslar (25 mg och 75 mg). "Entero" betyder att kapslarnas innehåll passerar genom magsäcken utan att brytas ned förrän kapslarna når tarmen. Den rekommenderade dagliga dosen beräknas enligt kroppsytan, som 1,30 g per m² uppdelat på 2 doser som ges var 12:e timme. Cystinnivåer i vita blodkroppar (vilka mäts som nmol hemicystin per mg protein i vita



blodkroppar), eller alternativt merkaptaminkoncentration i blodet, bör mätas och användas för att justera dosen, vilken aldrig bör överstiga 1,95 g per m² per dag. Mer information finns i bipacksedeln.

Hur verkar Procysbi?

Den aktiva substansen i Procysbi, merkaptamin, reagerar med cystin för att bilda en annan aminosyra, kallad cystein, och en förening som kallas ett cystein-cysteaminsalt. Kroppen kan avlägsna detta salt från cellerna. Därmed minskar mängden cystin i organen, vilket begränsar skadan på dessa organ.

Vilken nytta med Procysbi har visats i studierna?

Procysbi som ges var 12:e timme har visat sig vara minst lika effektivt som Cystagon som ges var 6:e timme när det gäller att hålla mängden cystin i vita blodkroppar på acceptabla nivåer (mindre än 1 nmol hemicystin per mg protein i vita blodkroppar). I en huvudstudie av 43 patienter med nefropatisk cystinos sågs ingen betydande skillnad mellan medelnivåerna av cystin i vita blodkroppar under en treveckorsbehandling med de två läkemedlen. Nivåerna var 0,51 nmol/mg med Procysbi, jämfört med 0,44 nmol/mg med Cystagon.

Vilka är riskerna med Procysbi?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Procysbi (kan uppträda hos fler än 1 av 10 personer) är nedsatt aptit, kräkning, illamående, diarré, letargi (brist på energi) och feber. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Procysbi finns i bipacksedeln.

Procysbi får inte ges till personer som är överkänsliga (allergiska) mot någon form av merkaptamin eller mot något innehållsämne, eller mot penicillamin. Det får heller inte ges till kvinnor som ammar.

Varför godkänns Procysbi?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att nyttan med Procysbi är större än riskerna och rekommenderade att Procysbi skulle godkännas för försäljning i EU. Kommittén för humanläkemedel noterade att Procysbi visade sig vara åtminstone lika effektivt som Cystagon när det gäller att hålla mängden cystin i vita blodkroppar på acceptabla nivåer. Kommittén beaktade dessutom att enteroformuleringen, på grund av att den ges mindre ofta, väntas öka följsamheten med behandlingen och livskvaliteten för patienter med cystinos. När det gäller dess säkerhet ansåg kommittén att säkerhetsprofilen för merkaptamin är väletablerad och säkerheten för Procysbi väntas vara densamma som för referensläkemedlet.

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

En riskhanteringsplan har tagits fram för att se till att Procysbi används så säkert som möjligt. I enlighet med denna plan har säkerhetsinformation tagits med i produktresumén och bipacksedeln för Procysbi. Där anges också lämpliga försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska vidta.

Dessutom ska företaget som marknadsför Procysbi tillhandahålla utbildningsmaterial till alla läkare som väntas förskriva läkemedlet. Materialet ska innehålla viktig säkerhetsinformation inklusive risken för att läkemedlet kan vara skadligt för ett ofött barn.

Mer information om Procysbi

Den 06.09.2013 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Procysbi som gäller i hela EU.

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Mer information om behandling med Procysbi finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av yttrandet om Procysbi från kommittén för sär läkemedel finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations).

Denna sammanfattning aktualiserades senast 09-2013.