



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371424/2015
EMA/H/C/000125

Резюме на EPAR за обществено ползване

Cystagon

mercaptamine

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Cystagon. В него се разяснява как Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) е оценил лекарството, за да даде положително становище за разрешаване за употреба и препоръки за условията на употреба на Cystagon.

Какво представлява Cystagon?

Cystagon е лекарство, което съдържа активното вещество меркаптамин (*mercaptamine*) (също известно като цистеамин). Предлага се под формата на капсули (50 и 150 mg).

За какво се използва Cystagon?

Cystagon се използва за лечение на пациенти с нефропатична (бъбречна) цистиноза. Цистинозата е рядко наследствено заболяване, при което в клетките се натрупват големи количества цистин, естествена аминокиселина в организма, по-специално в бъбреците и очите, като по този начин ги уврежда.

Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание.

Как се използва Cystagon?

Лечението със Cystagon трябва да бъде започнато от лекар с опит в лечението на цистиноза.

Нивата на цистина в белите кръвни клетки трябва да бъдат проследявани и използвани за корекция на дозата.

Препоръчителната доза при деца до 12-годишна възраст е изчислена според площта на телесната повърхност (която се изчислява въз основа на височината и теглото на пациента), като 1,30 g на m² се раздели на 4 дози. Препоръчителната доза при пациенти над 12-годишна възраст и с тегло над 50 kg е 2 g, разделена на 4 дози. Началните дози трябва да бъдат една четвърт до една шеста



от очакваните крайни дози. Началната доза трябва да се повишава постепенно за период от 4 до 6 седмици. Максималната доза не трябва да надвишава 1.95 g на m² на ден. За повече информация вижте листовката.

Как действа Cystagon?

Активното вещество в Cystagon, меркаптамин, взаимодейства с цистина и образува друга аминокиселина, наречена цистеин, и една съставка, наречена цистеин-цитеаминова сол. Организмът е в състояние да премахне тази сол от клетките. В резултат на това се понижава количеството на цистина в органите и това ограничава увреждането на тези органи.

Как е проучен Cystagon?

Cystagon е изследван в три основни проучвания, включващи 234 пациенти, за период от 12 години. Тези проучвания са включвали деца и нови пациенти, при които са били изследвани две различни дози. Тъй като заболяването е много сериозно, по етични причини не е било възможно директното сравняване на Cystagon с плацебо (сляпо лечение). Вместо това е било направено сравнение с група пациенти, приемащи сляпо лечение като част от друго, несвързано изпитване. При проучванията е проследена функцията на бъбреците, преживяемостта и скоростта на растеж на пациентите.

Какви ползи от Cystagon са установени в проучванията?

И при трите проучвания е доказано, че когато лечението се започне в ранна възраст, Cystagon отлага бъбречните проблеми, както и нуждата от диализа или бъбречна трансплантация. Също така, той увеличава преживяемостта и скоростта на растеж на лекуваните деца.

Какви са рисковете, свързани със Cystagon?

Най-честите нежелани лекарствени реакции при Cystagon (наблюдавани при повече от 1 на 10 пациенти) са загуба на апетит, повръщане, гадене (позиви за повръщане), диария, летаргия (липса на енергия) и пирексия (повишена температура). За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции, съобщени при Cystagon, вижте листовката.

Cystagon не трябва да се прилага при хора, които са свръхчувствителни (алергични) към цистеамин или към някоя от останалите съставки, или към друго лекарство, наречено пенициламин. Не трябва да се използва и при жени, които кърмят, както и при бременни (особено през първите три месеца), освен ако това не е съвсем необходимо.

Защо Cystagon е разрешен за употреба?

Цистинозата е рядко, фатално заболяване и Cystagon се смята за полезно лекарство за това заболяване. CHMP реши, че ползите от Cystagon са по-големи от рисковете, и препоръча да се издаде разрешение за употреба.

Допълнителна информация за Cystagon:

На 23 юни 1997 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Cystagon, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR за Cystagon може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. За повече информация относно лечението с Cystagon прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Дата на последно актуализиране на текста 07-2013.