

EMA/584594/2013
EMA/H/C/002465

EPAR - sammendrag for offentligheden

Procysbi mercaptamin

Dette er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Procysbi. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Procysbi bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Procysbi, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Procysbi, og hvad anvendes det til?

Procysbi er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof mercaptamin (også kaldet cysteamin). Procysbi anvendes til behandling af nefropatisk cystinose (cystinose, der angriber nyrerne). Cystinose er en arvelig sygdom, hvor cystin, en aminosyre, der normalt findes i kroppen, ophobes i unormale mængder i cellerne, navnlig i nyrerne og øjnene, som derved beskadiges.

Da antallet af patienter med cystinose er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Procysbi blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 20. september 2010.

Procysbi er et "hybridt lægemiddel". Det vil sige, at det svarer til et "referencelægemiddel", der indeholder samme aktive stof, men Procysbi fås i en formulering, der forsinker frigivelsen af det aktive stof i kroppen. Referencelægemidlet for Procysbi er Cystagon.

Hvordan anvendes Procysbi?

Procysbi fås kun på recept, og behandlingen bør iværksættes og overvåges af en læge med erfaring i behandling af cystinose.

Procysbi fås som enterokapsler (25 og 75 mg). "Enterokapsler" er kapsler, hvis indhold passerer gennem mavesækken uden at nedbrydes, før de når frem til tarmen. Den anbefalede daglige dosis beregnes efter legemsoverflade med 1,30 g pr. m², fordelt på to doser, der gives med 12 timers

mellemrum. Cystinindholdet i de hvide blodlegemer (måles i nmol hemicystin pr. mg protein de i hvide blodlegemer) eller alternativt koncentrationen af mercaptamin i blodet skal overvåges, og dosis tilpasses derefter. Dosis må aldrig overstige 1,95 g pr. m² pr. dag. Yderligere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

Hvordan virker Procysbi?

Det aktive stof i Procysbi, mercaptamin, reagerer med cystin og danner derved en anden aminosyre kaldet cystein, og et stof, der kaldes et cystein-cysteaminsalt. Dette salt er kroppen i stand til at fjerne fra cellerne, så cystinindholdet i organerne nedsættes, og skaden på organerne mindskes.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Procysbi?

Procysbi, givet hver 12. time, er påvist at være mindst ligeså effektivt som Cystagon, givet hver sjette time, til at holde cystinindholdet i de hvide blodlegemer på et acceptabelt niveau (under 1 nmol hemicystin pr. mg protein i de hvide blodlegemer). I en hovedundersøgelse med 43 patienter med nefropatisk cystinose var der ingen betydningsfuld forskel mellem de to lægemidler hvad angår det gennemsnitlige cystinindhold i de hvide blodlegemer ved 3 ugers behandling. Indholdet var 0,51 nmol/mg med Procysbi, sammenholdt med 0,44 nmol/mg med Cystagon.

Hvilke risici er der forbundet med Procysbi?

De hyppigste bivirkninger med Procysbi (som kan forekomme hos mere end 1 ud af hver 10 behandlede) er nedsat appetit, opkastning, kvalme, diarré, letargi (sløvhed) og feber. Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger ved Procysbi fremgår af indlægssedlen.

Procysbi må ikke anvendes hos personer, der er overfølsomme (allergiske) over for mercaptamin eller andre af indholdsstofferne eller over for penicillamin. Procysbi må heller ikke anvendes hos kvinder, der ammer.

Hvorfor blev Procysbi godkendt?

Agenturets Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) afgjorde, at fordelene ved Procysbi er større end risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU. CHMP bemærkede, at Procysbi var påvist at være mindst ligeså effektivt som Cystagon til at holde indholdet af cystin i de hvide blodlegemer på et acceptabelt niveau. Udvalget tog desuden i betragtning, at enteroformuleringen som følge af de længere intervaller mellem doserne ventes at øge ordinationsefterlevelse og livskvalitet hos patienter med cystinose. Vedrørende sikkerheden fandt CHMP, at sikkerhedsprofilen for mercaptamin er velkendt, og at sikkerheden ved Procysbi forventes at svare til referencelægemidlets.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Procysbi?

Der er udarbejdet en risikostyringsplan for at sikre, at Procysbi anvendes så risikofrit som muligt. I produktresuméet og indlægssedlen for Procysbi er der indsat sikkerhedsoplysninger baseret på denne plan, herunder passende forholdsregler, der skal følges af sundhedspersonale og patienter.

Desuden skal den virksomhed, der markedsfører Procysbi, udlevere oplysningsmateriale til de læger, som forventes at ordinere lægemidlet. Materialet skal indeholde vigtig sikkerhedsinformation, herunder om risikoen for, at lægemidlet kan være skadeligt for det ufødte barn.

Andre oplysninger om Procysbi:

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Procysbi den 06.09.2013

Den fuldstændige EPAR for Procysbi findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Procysbi, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Procysbi findes på EMA's websted under: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 09-2013.