

EMA/584596/2013
EMA/H/C/002465

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

Procysbi

Mercaptamin

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Procysbi. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Procysbi zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Procysbi benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an ihren Arzt oder Apotheker.

Was ist Procysbi und wofür wird es angewendet?

Procysbi ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Mercaptamin (auch bekannt unter der Bezeichnung Cysteamin) enthält. Es wird bei Patienten mit nephropathischer (die Niere betreffender) Cystinose angewendet. Cystinose ist eine angeborene Krankheit, bei der sich übermäßige Mengen von Cystin, einer im Körper natürlich vorkommenden Aminosäure, in den Zellen, insbesondere der Nieren und Augen, ansammeln und diese schädigen.

Da es nur wenige Patienten mit Cystinose gibt, gilt die Krankheit als selten und Procysbi wurde am 20. September 2010 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Procysbi ist ein sogenanntes Hybrid-Arzneimittel. Dies bedeutet, dass es vergleichbar einem Referenzarzneimittel ist, das den gleichen Wirkstoff enthält. Im Unterschied zu diesem ist Procysbi aber in einer Formulierung erhältlich, die eine verzögerte Freisetzung des Wirkstoffs in den Körper erlaubt. Das Referenzarzneimittel für Procysbi ist Cystagon.

Wie wird Procysbi angewendet?

Procysbi ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und die Behandlung sollte unter Aufsicht eines in der Behandlung von Cystinose erfahrenen Arztes eingeleitet werden.

Procysbi ist als magensaftresistente Kapseln (25 und 75 mg) erhältlich. Magensaftresistent bedeutet, dass die Kapseln den Magen unversehrt passieren und der Kapselinhalt erst nach Erreichen des Dünndarms abgebaut wird. Die empfohlene Tagesdosis wird anhand der Körperoberfläche berechnet, und zwar als 1,30 g pro m², und dann geteilt in 2 Dosen alle 12 Stunden angewendet. Zur optimalen Anpassung der Dosis, die niemals den Wert von 1,95 g pro m² und Tag überschreiten darf, sollte entweder die in den weißen Blutzellen (Leukozyten) enthaltene Menge an Cystin (gemessen als nmol Hemicystin pro mg Leukozytenprotein) oder alternativ die Mercaptamin-Konzentration im Blut kontrolliert werden. Nähere Informationen sind der Packungsbeilage zu entnehmen.

Wie wirkt Procysbi?

Der in Procysbi enthaltene Wirkstoff, Mercaptamin, reagiert mit Cystin zur Bildung einer anderen Aminosäure namens Cystein und einer Verbindung namens Cystein-Cysteamin-Salz. Dieses Salz kann der Körper aus den Zellen entfernen. Dadurch verringert sich der Cystingehalt in den Organen, wodurch Schädigungen dieser Organe begrenzt werden.

Welchen Nutzen hat Procysbi in den Studien gezeigt?

Es wurde gezeigt, dass alle 12 Stunden angewendetes Procysbi mindestens genauso wirksam wie alle 6 Stunden angewendetes Cystagon den Cystinspiegel in den weißen Blutzellen auf einem akzeptablen Wert (unter 1 nmol Hemicystin pro mg Leukozytenprotein) hält. In einer Hauptstudie, an der 43 Patienten mit nephropathischer Cystinose teilnahmen, zeigte sich bei einer 3-wöchigen Behandlung kein relevanter Unterschied zwischen den beiden Arzneimitteln hinsichtlich den durchschnittlichen Konzentrationen von Cystin in weißen Blutzellen. Die Konzentrationen betrugen 0,51 nmol/mg mit Procysbi im Vergleich zu 0,44 nmol/mg mit Cystagon.

Welche Risiken sind mit Procysbi verbunden?

Sehr häufige Nebenwirkungen von Procysbi (, die mehr als 1 von 10 Menschen betreffen können) sind Appetitlosigkeit, Erbrechen, Nausea (Übelkeit), Diarrhö (Durchfall), Lethargie (Energiemangel) und Pyrexie (Fieber). Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Procysbi berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Procysbi darf nicht bei Patienten angewendet werden, die überempfindlich (allergisch) gegen irgendeine Form von Mercaptamin oder einen der sonstigen Bestandteile oder Penicillamin sind. Es darf auch nicht bei Frauen während der Stillzeit angewendet werden.

Warum wurde Procysbi zugelassen?

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Agentur gelangte zu dem Schluss, dass der Nutzen von Procysbi gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, dass es für die Anwendung in der EU zugelassen wird. Der CHMP stellte fest, dass Procysbi die Cystinmenge in den weißen Blutzellen nachweislich mindestens genauso wirksam wie Cystagon bei akzeptablen Konzentrationen halten kann. Ferner vertrat der Ausschuss die Auffassung, dass zu erwarten ist, dass die magensaftresistente Formulierung aufgrund ihrer weniger häufigen Anwendung zu einer besseren Compliance (Einhaltung der Behandlung) und Lebensqualität der Patienten mit Cystinose führt. In Bezug auf die Sicherheit gelangte der CHMP zu dem Schluss, dass das Sicherheitsprofil von Mercaptamin gut bekannt ist und für Procysbi eine mit dem Referenzarzneimittel vergleichbare Sicherheit zu erwarten ist.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Procysbi ergriffen?

Es wurde ein Risikomanagementplan entwickelt, um sicherzustellen, dass Procysbi so sicher wie möglich angewendet wird. Auf der Grundlage dieses Plans wurden Sicherheitsinformationen in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage für Procysbi aufgenommen, einschließlich geeigneter Vorsichtsmaßnahmen für Angehörige der Gesundheitsberufe und Patienten.

Außerdem wird das Unternehmen, das Procysbi vermarktet, allen Ärzten, die dieses Arzneimittel voraussichtlich verschreiben werden, Fachinformationsmaterial zur Verfügung stellen, das wichtige Sicherheitsinformationen einschließlich des Risikos, dass das Arzneimittel das Kind im Mutterleib schädigen kann, enthält.

Weitere Informationen über Procysbi

Am 06.09.2013 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von Procysbi in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Procysbi finden Sie auf der Website der Agentur: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Procysbi benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Procysbi finden Sie auf der Website der Agentur: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 09. 2013 aktualisiert.