



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/450625/2012
EMA/H/C/000996

Περίληψη EPAR για το κοινό

Cayston

αζτρεονάμη

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Cayston. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) αξιολόγησε το φάρμακο προτού διατυπώσει τη θετική της γνώμη για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, καθώς και τις συστάσεις της σχετικά με τους όρους χρήσης του Cayston.

Τι είναι το Cayston;

Το Cayston είναι κόνις και διαλύτης για την παρασκευή διαλύματος για εισπνοή με εκνεφωτή. Περιέχει τη δραστική ουσία αζτρεονάμη.

Σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται το Cayston;

Το Cayston χρησιμοποιείται για την καταστολή χρόνιας πνευμονικής λοίμωξης που προκαλείται από το βακτήριο *P. aeruginosa* σε ενήλικες και παιδιά (ηλικίας έξι ετών και άνω) με κυστική ίνωση. Η κυστική ίνωση είναι μια κληρονομική νόσος που επηρεάζει τα πνευμονικά κύτταρα, τα οποία εκκρίνουν βλέννα, και τα αδενικά κύτταρα, τα οποία εκκρίνουν πεπτικά ένζυμα στα έντερα και το πάγκρεας. Στην κυστική ίνωση, οι εν λόγω εκκρίσεις είναι παχύρρευστες με αποτέλεσμα την απόφραξη των αεροφόρων οδών και την παρεμπόδιση της ροής των πεπτικών υγρών. Το γεγονός αυτό δημιουργεί προβλήματα στην πέψη και στην απορρόφηση των τροφών και, κατ' επέκταση, σε ανεπαρκή ανάπτυξη, καθώς και χρόνια λοίμωξη και φλεγμονή των πνευμόνων λόγω αδυναμίας απομάκρυνσης της πλεονάζουσας βλέννας.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με κυστική ίνωση που πάσχουν από πνευμονική λοίμωξη από βακτήριο και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Cayston χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 21 Ιουνίου 2004.

Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.



Πώς χρησιμοποιείται το Cayston;

Το Cayston πρέπει να χρησιμοποιείται με εκνεφωτή (ένα ειδικό μηχάνημα που μετατρέπει το διάλυμα σε αερόλυμα το οποίο εισπνέει ο ασθενής). Το Cayston χορηγείται τρεις φορές την ημέρα για διάρκεια τεσσάρων εβδομάδων, ενώ παρεμβάλλεται διάστημα τουλάχιστον τεσσάρων ωρών μεταξύ κάθε δόσης. Πριν από κάθε δόση Cayston πρέπει να λαμβάνεται βρογχοδιασταλτικό (φάρμακο το οποίο διαστέλλει τους αεραγωγούς των πνευμόνων). Σε περίπτωση που ο ασθενής υποβάλλεται σε περισσότερες της μίας θεραπείες με εισπνεόμενα φάρμακα, πρώτα πρέπει να χορηγείται το βρογχοδιασταλτικό, στη συνέχεια το βλεννολυτικό (φάρμακο που προκαλεί αραιώση της βλέννας) και στο τέλος το Cayston. Σε περίπτωση που ο γιατρός κρίνει ότι, μετά τον πρώτο κύκλο θεραπείας, απαιτούνται επιπρόσθετοι κύκλοι θεραπείας με Cayston, συνιστάται η μεσολάβση διαστήματος τεσσάρων εβδομάδων μετά από κάθε κύκλο θεραπείας τεσσάρων εβδομάδων με Cayston.

Πώς δρα το Cayston;

Η κυστική ίνωση είναι μια πάθηση κατά την οποία οι πνεύμονες του ασθενούς παράγουν υπερβολική ποσότητα παχιάς βλέννας η οποία καθιστά ευκολότερη την ανάπτυξη βακτηριδίων. Σε ασθενείς με κυστική ίνωση, οι λοιμώξεις από *P. aeruginosa* συνήθως ξεκινούν εντός των 10 πρώτων ετών ζωής και μπορεί να προκαλέσουν μακροχρόνια προβλήματα στους πνεύμονες.

Η δραστική ουσία του Cayston, η αζτρεονάμη, είναι αντιβιοτικό το οποίο ανήκει στην κατηγορία των «β-λακταμών». Δρα μέσω της προσκόλλησής του σε πρωτεΐνες που βρίσκονται στην επιφάνεια του βακτηρίου *P. aeruginosa*. Κατ' αυτόν τον τρόπο προλαμβάνεται η δημιουργία του τοιχώματος των κυττάρων των βακτηρίων και τα βακτήρια εξουδετερώνονται.

Η αζτρεονάμη είναι διαθέσιμη υπό μορφή ένεσης από τη δεκαετία του 1980 ως «άλας αργινίνης». Στο Cayston, η αζτρεονάμη διατίθεται ως «άλας λυσίνης», γεγονός το οποίο επιτρέπει την άμεση διοχέτευση του αντιβιοτικού στους πνεύμονες δίχως να προκαλείται ερεθισμός.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Cayston;

Το Cayston συγκρίθηκε με εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) στο πλαίσιο δύο κύριων μελετών στις οποίες συμμετείχαν συνολικά 375 ασθενείς με κυστική ίνωση, οι οποίοι εμφάνιζαν χρόνια πνευμονική λοίμωξη οφειλόμενη στο βακτήριο *P. aeruginosa*. Οι ασθενείς ήταν στην πλειονότητά τους ενήλικες. Στην πρώτη μελέτη, ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν το διάστημα που παρήλθε έως ότου χρειαστεί να χορηγηθούν στους ασθενείς άλλα πρόσθετα εισπνεόμενα ή ενδοφλέβια αντιβιοτικά. Στην άλλη μελέτη, ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η βαθμολογία την οποία απέδωσαν οι ασθενείς στα αναπνευστικά τους συμπτώματα βάσει τυποποιημένης κλίμακας για την κυστική ίνωση. Στο πλαίσιο των δύο αυτών μελετών, οι ασθενείς υποβλήθηκαν σε θεραπεία διάρκειας τεσσάρων εβδομάδων.

Στο πλαίσιο τρίτης κύριας μελέτης στην οποία συμμετείχαν 268 ασθενείς (στους οποίους περιλαμβάνονται 59 παιδιά ηλικίας από έξι έως 17 ετών) το Cayston συγκρίθηκε με άλλο εισπνεόμενο αντιβιοτικό (διάλυμα τομπραμυκίνης σε νεφελοποιημένη μορφή). Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η βελτίωση του ταχέως εκπνεόμενου όγκου στο πρώτο δευτερόλεπτο (FEV₁, ο μέγιστος όγκος αέρα που μπορεί να εκπνεύσει ένα άτομο σε διάστημα ενός δευτερολέπτου).

Σε μία συμπληρωματική μελέτη συγκρίθηκε η χορήγηση Cayston με τη χορήγηση εικονικού φαρμάκου επί τέσσερις εβδομάδες σε ασθενείς με ήπια πνευμονοπάθεια λόγω κυστικής ίνωσης. Εξετάσε τον βαθμό ικανοποιητικής λειτουργίας των πνευμόνων, τον αριθμό των βακτηρίων *P. aeruginosa* στη βλέννα των ασθενών και τα αναπνευστικά τους συμπτώματα.

Ποιο είναι το όφελος του Cayston σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Cayston αποδείχτηκε αποτελεσματικότερο από το εικονικό φάρμακο στην καταστολή πνευμονικών λοιμώξεων που προκαλούνται από το βακτήριο *P. aeruginosa* σε ασθενείς με κυστική ίνωση. Στην πρώτη μελέτη, στους ασθενείς που χορηγήθηκε Cayston χρειάστηκε να χορηγηθούν και άλλα αντιβιοτικά μετά από διάστημα 92 ημερών έναντι 71 ημερών για τους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Στη δεύτερη μελέτη, τα αναπνευστικά συμπτώματα βελτιώθηκαν στους ασθενείς που έλαβαν Cayston σε σύγκριση με εκείνα των ασθενών που έλαβαν εικονικό φάρμακο.

Η τρίτη μελέτη κατέδειξε ότι το Cayston υπερτερούσε του αντιβιοτικού σύγκρισης: μετά από τέσσερις εβδομάδες θεραπείας η αύξηση του FEV₁, ανάλογα με την ηλικία, το ύψος και το φύλο, ήταν 8,35% για το Cayston και 0,55% για το αντιβιοτικό σύγκρισης. Μετά από τρεις κύκλους θεραπείας με Cayston η αύξηση του FEV₁ ήταν 2,05% σε σύγκριση με μείωση κατά 0,66% μετά από αντίστοιχη θεραπεία με το αντιβιοτικό σύγκρισης. Επίσης, παρατηρήθηκε βελτίωση στη λειτουργία των πνευμόνων σε παιδιά ηλικίας από έξι έως 17 ετών, τόσο μετά από θεραπεία τεσσάρων εβδομάδων όσο και μετά από τρεις κύκλους θεραπείας.

Τα αποτελέσματα της συμπληρωματικής μελέτης συμφωνούσαν με τα αποτελέσματα των κύριων μελετών.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Cayston;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Cayston (εμφανίζονται σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι συριγμός, βήχας, φαρυγγολαρυγγικός πόνος (πόνος στον λαιμό και τον λάρυγγα), ρινική συμφόρηση (φραγμένη μύτη), δύσπνοια (αναπνευστική δυσχέρεια) και πυρετός. Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν για το Cayston περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Cayston δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που παρουσιάζουν υπερευαισθησία (αλλεργία) στην αζτρεονάμη ή σε οποιοδήποτε άλλο από τα συστατικά του φαρμάκου.

Για ποιούς λόγους εγκρίθηκε το Cayston;

Η CHMP έκρινε ότι υπήρχε μια ακάλυπτη ιατρική ανάγκη νέων αντιβιοτικών για τη θεραπεία ασθενών με κυστική ίνωση, δεδομένου ότι πολλοί από τους εν λόγω ασθενείς έχουν ήδη αναπτύξει αντίσταση σε άλλα αντιβιοτικά μέχρι τη στιγμή που θα ενηλικιωθούν, καθώς επίσης και διότι οι πνευμονικές λοιμώξεις από *P. aeruginosa* αποτελούν αιτία σοβαρών προβλημάτων υγείας σε ασθενείς που πάσχουν από κυστική ίνωση. Η CHMP έκρινε ότι τα οφέλη του Cayston υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το εν λόγω φάρμακο.

Λοιπές πληροφορίες για το Cayston:

Στις 21 Σεπτεμβρίου 2009, η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Cayston.

Η πλήρης δημόσια έκθεση αξιολόγησης (EPAR) του Cayston διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Cayston, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην ευρωπαϊκή δημόσια έκθεση αξιολόγησης) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Cayston διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation)

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 07-2012.