



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/584597/2013
EMA/H/C/002465

Περίληψη EPAR για το κοινό

Procysbi μερκαπαμίνη

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Procysbi. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του φαρμάκου. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Procysbi.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη λήψη του Procysbi, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευούνται το φύλλο οδηγιών χρήσης ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Procysbi και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Procysbi είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία μερκαπαμίνη (γνωστή και ως κυστεαμίνη). Χορηγείται σε ασθενείς που πάσχουν από νεφροπαθή κυστίωση. Η κυστίωση είναι κληρονομική νόσος στην οποία περίσσειες ποσότητες ενός αμινοξέος που ονομάζεται κυστίνη και παράγεται φυσιολογικά στον οργανισμό συσσωρεύονται στα κύτταρα, ειδικά των νεφρών και των οφθαλμών, προκαλώντας βλάβες.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με κυστίωση και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Procysbi χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 20 Σεπτεμβρίου 2010.

Το Procysbi είναι «υβριδικό φάρμακο». Αυτό σημαίνει ότι είναι παρόμοιο με «φάρμακο αναφοράς» το οποίο περιέχει την ίδια δραστική ουσία, με τη διαφορά ότι το Procysbi διατίθεται υπό μορφή σκευάσματος με το οποίο καθίσταται δυνατή η αργή αποδέσμευση της δραστικής ουσίας στον οργανισμό. Το φάρμακο αναφοράς για το Procysbi είναι το Cystagon.

Πώς χρησιμοποιείται το Procysbi;

Το Procysbi χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η θεραπεία πρέπει να ξεκινάει υπό την επίβλεψη γιατρού με εμπειρία στη θεραπεία της κυστίωσης.



Το Procysbi διατίθεται υπό μορφή γαστροανθεκτικών καψακίων (των 25 και των 75 mg). Ο όρος «γαστροανθεκτικός» σημαίνει ότι το περιεχόμενο των καψακίων διέρχεται από το στομάχι χωρίς να διασπάται μέχρις ότου φτάσει στο έντερο. Η συνιστώμενη ημερήσια δόση υπολογίζεται βάσει της επιφάνειας του σώματος σε $1,30 \text{ g ανά m}^2$ και διαιρείται σε 2 δόσεις χορηγούμενες ανά 12 ώρες. Για την προσαρμογή της δόσης, η οποία δεν πρέπει να υπερβαίνει τα $1,95 \text{ g ανά m}^2$ ημερησίως, συνιστάται να παρακολουθούνται και να χρησιμοποιούνται τα επίπεδα κυστίνης των λευκοκυττάρων (τα οποία εκφράζονται ως nmol ημικυστίνης ανά mg πρωτεΐνης των λευκοκυττάρων) ή, εναλλακτικά, η συγκέντρωση μερκαπταμίνης στο αίμα. Για περισσότερες πληροφορίες ανατρέξτε στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Πώς δρα το Procysbi;

Η δραστική ουσία του Procysbi, η μερκαπταμίνη, αντιδρά με την κυστίνη σχηματίζοντας άλλο αμινοξύ, το οποίο ονομάζεται κυστεΐνη, καθώς και μια ένωση η οποία ονομάζεται άλας κυστεΐνης-κυστεαμίνης. Ο οργανισμός έχει την ικανότητα να απομακρύνει το συγκεκριμένο άλας από τα κύτταρα, με αποτέλεσμα η ποσότητα της κυστίνης και, κατ' επέκταση, η συνεπακόλουθη βλάβη στα όργανα να μειώνεται.

Ποιο είναι τα οφέλη του Procysbi σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Procysbi χορηγούμενο κάθε 12 ώρες αποδείχθηκε εξίσου αποτελεσματικό με το Cystagon χορηγούμενο κάθε 6 ώρες, όσον αφορά τη διατήρηση της ποσότητας της κυστίνης των λευκοκυττάρων σε αποδεκτά επίπεδα (κάτω από 1 nmol ημικυστίνης ανά mg πρωτεΐνης των λευκοκυττάρων). Στο πλαίσιο μιας κύριας μελέτης στην οποία μετείχαν 43 ασθενείς με νεφροπαθή κυστίνωση, οι διαφορές μεταξύ των μέσων επιπέδων κυστίνης στα λευκοκύτταρα κατά τη διάρκεια 3 εβδομάδων θεραπείας με έκαστο εκ των δύο φαρμάκων ήταν επουσιώδεις. Τα επίπεδα κυστίνης ήταν 0,51 nmol/mg με το Procysbi και 0,44 nmol/mg με το Cystagon.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Procysbi;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Procysbi (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα) είναι απώλεια όρεξης, έμετος, ναυτία (αίσθημα αδιαθεσίας), διάρροια, λήθαργος (έλλειψη ενέργειας) και πυρεξία (πυρετός). Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το Procysbi περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το Procysbi δεν πρέπει να χορηγείται σε ασθενείς που παρουσιάζουν υπερευαισθησία (αλλεργία) σε οποιαδήποτε μορφή μερκαπταμίνης, ή σε οποιοδήποτε άλλο από τα συστατικά του φαρμάκου ή στην πενικιλλαμίνη. Επίσης, δεν πρέπει να χορηγείται σε γυναίκες κατά τη διάρκεια της γαλουχίας.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Procysbi;

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Οργανισμού απεφάνθη ότι τα οφέλη του Procysbi υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του στην ΕΕ. Η CHMP επεσήμανε ότι το Procysbi καταδείχτηκε εξίσου αποτελεσματικό με το Cystagon στη διατήρηση της ποσότητας της κυστίνης των λευκοκυττάρων σε αποδεκτά επίπεδα. Επίσης, η επιτροπή έκρινε ότι το γαστροανθεκτικό σκεύασμα, λόγω της λιγότερο συχνής χορήγησής του, αναμένεται να ενισχύσει τη συμμόρφωση των ασθενών με κυστίνωση προς τη θεραπεία και να βελτιώσει την ποιότητα ζωής τους. Όσον αφορά την ασφάλεια του φαρμάκου, η CHMP έκρινε ότι η εικόνα ασφάλειας της μερκαπταμίνης είναι επαρκώς τεκμηριωμένη και ότι η ασφάλεια του Procysbi αναμένεται να είναι παρόμοια με αυτήν του φαρμάκου αναφοράς.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Procysbi;

Καταρτίστηκε σχέδιο διαχείρισης κινδύνου προκειμένου να διασφαλιστεί ότι το Procysbi χρησιμοποιείται με τον ασφαλέστερο δυνατό τρόπο. Βάσει του εν λόγω σχεδίου, στην περίληψη χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του Procysbi συμπεριλήφθηκαν πληροφορίες σχετικά με την ασφάλεια καθώς με και τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς.

Επιπλέον, η παρασκευάστρια εταιρεία του Procysbi θα παράσχει σε όλους τους γιατρούς που αναμένεται να συνταγογραφήσουν το φάρμακο εκπαιδευτικό υλικό στο οποίο θα περιλαμβάνονται σημαντικές πληροφορίες σχετικά με την ασφάλεια του φαρμάκου, καθώς και με τους κινδύνους που ενέχει το φάρμακο για το έμβρυο.

Λοιπές πληροφορίες για το Procysbi

Στις 6 Σεπτεμβρίου 2013 η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Procysbi.

Η πλήρης EPAR του Procysbi 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 Procysbi, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Procysbi διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 09-2013.