



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/584590/2013
EMA/H/C/002465

Резюме на EPAR за обществено ползване

Procysbi mercaptopamine

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Procysbi. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Procysbi.

За практическа информация относно употребата на Procysbi пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

Какво представлява Procysbi и за какво се използва?

Procysbi е лекарство, което съдържа активното вещество меркаптамин (*mercaptopamine*) (известен също като цистеамин). Използва се при пациенти с нефропатична (бъбречна) цистиноза. Цистинозата е наследствено заболяване, при което в клетките на организма се натрупват излишни количества цистин, естествено срещаща се в организма аминокиселина, особено в бъбреците и очите, което води до тяхното увреждане.

Тъй като броят на пациентите с цистиноза е малък, болестта се счита за „рядка“ и Procysbi е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 20 септември 2010 г.

Procysbi е „хибридно лекарство“. Това означава, че е подобно на „референтно лекарство“, съдържащо същото активно вещество, но лекарствената форма, под която се предлага Procysbi, дава възможност за забавено освобождаване на активното вещество в организма. Референтното лекарство за Procysbi е Cystagon.

Как се използва Procysbi?

Procysbi се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да се започне под наблюдението на лекар с опит в лечението на цистинозата.



Procysbi се предлага под формата на стомашно-устойчиви капсули (25 и 75 mg). „Стомашно-устойчиви“ означава, че съдържанието на капсулите преминава през стомаха, без да се разгражда, преди да достигне червата. Препоръчителната дневна доза се изчислява спрямо телесната повърхност, като 1,30 g на m², разделени в две дози на всеки 12 часа. Нивата на цистина в левкоцитите (които се измерват, като pmol хемицистин на mg протеин в левкоцитите) или алтернативно концентрацията на меркаптамина в кръвта, трябва да се следят и да се използват за коригиране на дозата, която никога не трябва да надвишава 1,95 g на m² на ден. За повече информация вижте листовката.

Как действа Procysbi?

Активното вещество в Procysbi, меркаптамин, взаимодейства с цистина и образува друга аминокиселина, наречена цистеин, и съединение, наречено цистеин-цистеаминова сол. Организмът е в състояние да премахне тази сол от клетките. Количеството на цистина в органите следователно е намалено, а това ограничава увреждането на тези органи.

Какви ползи от Procysbi са установени в проучванията?

Доказано е, че Procysbi, приеман на всеки 12 часа, е поне толкова ефективен, колкото Cystagon, приеман на всеки 6 часа, за запазване на количеството на цистина в левкоцитите на приемливи нива (по-малко от 1 pmol хемицистин на mg протеин в левкоцитите). В едно основно проучване, включващо 43 пациенти с нефропатична цистиноза, не се наблюдава значима разлика между средните нива на цистина в левкоцитите по време на 3-седмично лечение с двете лекарства. Нивата са 0,51 pmol/mg с Procysbi, в сравнение с 0,44 pmol/mg с Cystagon.

Какви са рисковете, свързани с Procysbi?

Най-честите нежелани лекарствени реакции при Procysbi (които е възможно да засегнат повече от 1 на 10 души) 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 Procysbi, вижте листовката.

Procysbi не трябва да се прилага при хора, които са свръхчувствителни (алергични) към която и да било форма на меркаптамин или към някоя от останалите съставки, или към пенициламин. Не трябва да се използва също така при жени, които кърмят.

Защо Procysbi е разрешен за употреба?

Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на Агенцията реши, че ползите от Procysbi са по-големи от рисковете, и препоръча Procysbi да бъде разрешен за употреба в ЕС. CHMP отбеляза, че Procysbi е доказано поне толкова ефективен, колкото Cystagon за поддържане на количеството на цистина в левкоцитите на приемливи нива. Комитетът също счита, че се очаква стомашно-устойчивата лекарствена форма, поради по-рядкото ѝ приложение, да повиши спазването на лечението и качеството на живот на пациентите с цистиноза. По отношение на неговата безопасност CHMP счита, че профилът на безопасност на меркаптамин е добре установен и се очаква безопасността на Procysbi да бъде подобна на тази на референтното лекарство.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Procysbi?

Разработен е план за управление на риска, за да се гарантира, че Procysbi се използва възможно най-безопасно. Въз основа на този план информацията за безопасността е включена в кратката характеристика на продукта и листовката за Procysbi, включително подходящи предпазни мерки за здравните специалисти и пациентите.

Освен това фирмата, която предлага Procysbi, ще предостави образователни материали за всички лекари, които се очаква да предписват лекарството, съдържащи важна информация за безопасността, включително за риска лекарството да бъде вредно за нероденото дете.

Допълнителна информация за Procysbi

На 06.09.2013 Европейската комисия издава разрешение за употреба на Procysbi, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR за Procysbi 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 Procysbi прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Procysbi може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Дата на последно актуализиране на текста 09-2013.