



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/584602/2013
EMA/H/C/002465

Kokkuvõte üldsusele

Procysbi merkaptamiin

See on ravimi Procysbi Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloa andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta Procysbi kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate Procysbi kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Mis on Procysbi ja milleks seda kasutatakse

Procysbi on ravim, mis sisaldab toimeainena merkaptamiini (tuntud ka tsüsteamiinina). Seda kasutatakse nefropaatilise (neerude) tsüstinoosiga patsientidel. Tsüstinoos on pärilik haigus, mille korral organismis leiduv aminohape tsüstiin koguneb ülemääraselt rakkudesse (eeskätt neerudesse ja silmadesse) ning kahjustab neid.

Et tsüstinoosiga patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Procysbi 20. septembril 2010 harvikravimiks.

Procysbi on hübriidravim. See tähendab, et Procysbi on sama toimeainet sisaldava võrdlusravimiga sarnane, kuid Procysbit turustatakse ravimvormis, mis võimaldab toimeainet viivitamatult organismi vabastada. Procysbi võrdlusravim on Cystagon.

Kuidas Procysbit kasutatakse?

Procysbi on retseptiravim ning ravi tohib alustada tsüstinoosi ravimise kogemustega arsti järelevalve all.

Procysbit turustatakse gastroresistentsete kapslitena (25 ja 75 mg). Gastroresistentsus tähendab, et kapsli sisu läbib mao ega lagune enne, kui kapsel jõuab soolestikku. Kehapindala alusel arvatud soovitatav ööpäevane annus 1,30 g ruutmeetri kohta jagatakse kaheks annuseks, mis manustatakse iga 12 tunni järel. Annuse kohandamiseks tuleb jälgida tsüstiinisaldust vere leukotsüütides

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7523 7051

E-mail info@ema.europa.eu **Website** www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



(mõõteühik on nmol hemitsüstiini leukotsüüdi valgu mg kohta) või merkaptamiini kontsentratsiooni veres ning ööpäevane annus ei tohi kunagi olla suurem kui 1,95 g kehapindala ruutmeetri kohta. Üksikasjalik teave on pakendi infolehel.

Kuidas Procysbi toimib?

Procysbi toimeaine merkaptamiin reageerib tsüstiiniga ning moodustab teise aminohappe, tsüsteiini, ja ühendi, mis on tsüsteiini-tsüsteamiini sool. Organism suudab seda soola rakkudest eemaldada. Tsüstiini kogus elundites väheneb ning see piirab nende elundite kahjustumist.

Milles seisneb uuringute põhjal Procysbi kasulikkus?

On tõendatud, et iga 12 tunni järel manustatav Procysbi on vere leukotsüütide tsüstiinisisalduse aktsepteeritaval tasemel (vähem kui 1 nmol hemitsüstiini leukotsüüdi valgu mg kohta) hoidmisel vähemalt sama efektiivne kui iga 6 tunni järel manustatav Cystagon. Põhiuuringus, kuhu oli kaasatud 43 nefropaatilise tsüstinoosiga patsienti, ei täheldatud kahe ravimiga kestnud kolmenädalase ravi vältel vere valgeliblede tsüstiini keskmise sisalduses olulist erinevust. Procysbi korral oli tsüstiinisisaldus 0,51 nmol/mg ja Cystagoni korral 0,44 nmol/mg.

Mis riskid Procysbiga kaasnevad?

Procysbi kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on isutus, oksendamine, iiveldus, kõhulahtisus, letargia (energiapuudus) ja püreksia (palavik). Procysbi kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Procysbit ei tohi kasutada patsientidel, kes on merkaptamiini mis tahes ravimvormi, mis tahes teiste koostisosade või penitsillamiini suhtes ülitundlikud (allergilised). Samuti ei tohi seda kasutada imetamise ajal.

Miks Procysbi heaks kiideti?

Inimravimite komitee otsustas, et Procysbi kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas ravimi kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita. Inimravimite komitee täheldas, et Procysbi hoiab vere leukotsüütide tsüstiinisisalduse aktsepteeritaval tasemel vähemalt sama efektiivselt kui Cystagon. Samuti leidis komitee, et tänu harvemale manustamisintervallile suurendab gastroresistentne ravimvorm eeldatavalt ravivastust ning parandab tsüstinoosiga patsientide elukvaliteeti. Ohutuse kohta arvas oli inimravimite komitee, et merkaptamiini ohutusprofiil on hästi tõendatud ja Procysbi ohutus on oodatavalt sarnane võrdlusravimiga.

Mis meetmed võetakse, et tagada Procysbi ohutu ja efektiivne kasutamine?

Töötati välja riskijuhtimisstrateegia, et tagada Procysbi võimalikult ohutu kasutamine. Strateegias lähtudes lisati ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele Procysbi ohutusteave, kus on ka tervishoiuspetsialistide ja patsientide võetavate ettevaatusmeetmete teave.

Lisaks varustab Procysbit turustav ettevõtte kõik ravimit eeldatavalt välja kirjutavad arstid teabematerjaliga, mis sisaldab olulist ohutusteavet ja käsitleb muu hulgas ravimi võimalikku kahjulikku toimet sündimata lapsele.

Muu teave Procysbi kohta

Euroopa Komisjon andis Procysbi müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 06.09.2013.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Procysbi kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Kui vajate Procysbiga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Procysbi kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 09-2013.