



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/584569/2013  
EMA/H/C/002465

## EPAR, sažetak za javnost

---

# Procysbi

## merkaptamin

Ovo je sažetak Europskoga javnog izvješća o ocjeni (EPAR) za Procysbi. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek da bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o načinu korištenja lijeka Procysbi.

Praktične informacije o korištenju lijeka Procysbi bolesnici trebaju pročitati u uputi o lijeku ili se obratiti svom liječniku ili ljekarniku.

### Što je Procysbi i za što se koristi?

Procysbi je lijek koji sadrži djelatnu tvar merkaptamin (također poznatu i kao cisteamin). Koriste se za bolesnike s nefropatskom (bubrežnom) cistinozom. Cistinoza je nasljedna bolest u kojoj prekomjerna količina cistina, aminokiseline koja se prirodno nalazi u tijelu, nakuplja se unutar stanica, posebice u bubrezima i očima i oštećuje ih.

Budući da je broj bolesnika s cistinozom mali, dotična se bolest smatra „rijetkom“ te se Procysbi označava kao lijek za liječenje rijetkih i teških bolesti od 20. rujna 2010.

Procysbi je „hibridni lijek“. To znači da je sličan „referentnom lijeku“ koji sadrži istu djelatnu tvar ali Procysbi je dostupan u formulaciji koja omogućava odgođeno oslobađanje djelatne tvari u tijelu. Referentni lijek za Procysbi je Cystagon.

### Kako se Procysbi koristi?

Procysbi se može dobiti samo na recept, a liječenje treba započeti pod nadzorom liječnika koji ima iskustva u liječenju cistinoze.

Procysbi je dostupan u obliku želučanootpornih kapsula (25 i 75 mg). Želučanootporna znači da sadržaj kapsula prolazi kroz želudac bez razgradnje dok ne dođe do crijeva. Preporučena dnevna doza računa se u skladu s površinom tijela, kao 1,30 g po m<sup>2</sup> podijeljeno u dvije doze koje se daju svakih 12 sati. Razine cistina u leukocitima (koje se mjere kao nmol hemicistina po mg proteina leukocita) ili



alternativno koncentraciju merkaptamina u krvi treba nadzirati i koristiti kao bi se prilagodila koja nikad ne bi smjela premašiti 1,95 g po m<sup>2</sup> na dan. Za dodatne informacije vidjeti uputu o lijeku.

## **Kako djeluje Procysbi?**

Djelatna tvar u lijeku Procysbi, merkaptamin reagira s cistinom kako bi tvorila drugu aminokiselinu, zvanu cistein i tvar zvanu sol cistein-cisteamina. Tijelo je u stanju eliminirati tu sol iz stanica. Količina cistina u organima je stoga reducirana pa to ograničava oštećenje ovih organa.

## **Koje koristi lijeka Procysbi su dokazane u ispitivanjima?**

Pokazalo se da je lijek Procysbi primijenjen svakih 12 sati barem učinkovit kao i Cystagon koji se daje svakih 6 sati za održavanje količine cistina u leukocitima na prihvatljivim razinama (manje od 1 nmol hemicistina po mg proteina leukocita). U glavnom ispitivanju koje je uključivalo 43 bolesnika s nefrotskom cistinozom, nije bilo značajne razlike između prosječnih razina cistina u leukocitima tijekom trotjednog liječenja s dva lijeka. Razine su bile 0,51 nmol/mg s lijekom Procysbi, u usporedbi s 0,44 nmol/mg s Cystagonom.

## **Koji su rizici povezani s lijekom Procysbi?**

Najčešće nuspojave s lijekom Procysbi (koje mogu zahvatiti više od na 10 osoba) su gubitak apetita, povraćanje, mučnina, proljev, letargija (manjak energije) i pireksija (vrućica). Potpuni popis nuspojava koje su zabilježene s lijekom Procysbi potražite u uputi o lijeku.

Procysbi ne smiju koristiti osobe koje su preosjetljive (alergične) na bilo koji oblik merkaptamina ili bilo koji drugi sastojak lijeka ili na penicilamin. Stoga se Procysbi također ne smije koristiti u žena koje su trudne.

## **Zašto je Procysbi odobren?**

Povjerenstvo za lijekove za primjenu kod ljudi (CHMP) pri Agenciji odlučilo je da koristi od lijeka Procysbi nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučila njegovo odobrenje za korištenje u Europskoj uniji. CHMP je napomenulo da je dokazano da je Procysbi barem jednako djelotvoran kao Cystagon u održavanju količine cistina u leukocitima na prihvatljivoj razini. Povjerenstvo je također smatralo da se očekuje da će gastrointestinalna formulacija, zbog rjeđe primjene, povećati pridržavanje s liječenjem i kvalitetu života bolesnika s cistinozom. Što se tiče njegove sigurnosti, CHMP je smatrao da je sigurnosni profil merkaptamina dobro utvrđen i da se očekuje da će sigurnost lijeka Procysbi biti slična onoj od referentnog lijeka.

## **Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Procysbi?**

Razvijen je plan upravljanja rizikom kako bi se osiguralo da se Procysbi koristi što je sigurnije moguće. Na temelju ovog plana sigurnosne informacije uključene su u Sažetak opisa svojstava lijeka i Uputu o lijeku za Procysbi uključujući i odgovarajuće mjere opreza kojih se trebaju pridržavati zdravstveni djelatnici i bolesnici.

Osim toga, tvrtka koja stavlja Procysbi na tržište osigurati će dodatne edukacijske materijale svim liječnicima za koje se očekuje da će propisivati lijek, a koji sadrže važne sigurnosne informacije uključujući rizik da lijek može biti štetan za nerođeno dijete.

## Druge informacije o lijeku Procysbi

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet koje za Procysbi vrijedi na prostoru Europske unije od 06.09.2013.

Cjelovito Europsko javno izvješće o ocjeni dokumentacije o lijeku Procysbi (EPAR) može se naći na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Više informacija o liječenju lijekom Procysbi pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) ili se obratite svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Povjerenstva za lijekove za rijetke i teške bolesti o lijeku Procysbi možete naći na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Sažetak je posljednji put obnovljen 09-2013.