



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/584570/2013
EMA/H/C/002465

EPAR santrauka plačiamaj visuomenei

Procysbi

merkaptaminas

Šis dokumentas yra Procysbi Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatyti jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Procysbi.

Praktinės informacijos apie Procysbi vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

Kas yra PROCYSBI ir kam jis vartojamas?

Procysbi – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos merkaptamino (dar vadinamo cisteaminu). Juo gydomi nefropatine (inkstų) cistinoze sergantys pacientai. Cistinozė – tai paveldima liga, kuria sergant ląstelėse, ypač inkstuose ir akyse, kaupiasi dideli cistino – natūralios organizme esančios aminorūgšties – kiekiai, sukeliantys jų pažeidimus.

Kadangi cistinoze sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta, ir 2010 m. rugsėjo 20 d. Procysbi buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Procysbi yra hibridinis vaistas. Tai reiškia, kad jis panašus į referencinį vaistą, kurio sudėtyje yra tos pačios veikliosios medžiagos, tačiau Procysbi tiekiamas tokios formos preparatu, iš kurio veiklioji medžiaga organizme išsiskiria vėliau. Referencinis Procysbi vaistas yra Cystagon.

Kaip vartoti Procysbi?

Procysbi galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą reikėtų pradėti prižiūrint gydytojui, kuris turi cistinozės gydymo patirties.

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

Telephone +44 (0)20 7418 8400 Facsimile +44 (0)20 7418 8416
E-mail info@ema.europa.eu Website www.ema.europa.eu



An agency of the European Union

Procysbi tiekiamas skrandyje neirių kapsulių (25 ir 75 mg) forma. „Skrandyje neirios“ reiškia, kad kapsulių turinys praslenka pro skrandį nesuskaidytas, kol pasiekia žarnyną. Rekomenduojama paros dozė apskaičiuojama pagal kūno paviršiaus plotą ($1,3 \text{ g/m}^2$) ir padalyta į dvi dalis vartojama kas 12 valandų. Cistino kiekis baltuosiuose kraujo kūneliuose (matuojamas hemicistino nanomoliais viename baltųjų kraujo kūnelių baltymo miligrame) – arba merkaptamino koncentracija kraujyje – turėtų būti stebimas ir pagal jį turėtų būti koreguojama vaisto dozė, kuri niekada neturėtų viršyti $1,95 \text{ g/m}^2$ per parą. Daugiau informacijos rasite pakuotės lapelyje.

Kaip veikia Procysbi?

Veikliajai Procysbi medžiagai merkaptaminui reaguojant su cistinu susidaro kita aminorūgštis, vadinama cisteinu, ir junginys, vadinamas cisteino–cisteamino druska. Šią druską organizmas pajėgia pašalinti iš ląstelių. Todėl cistino kiekis organuose sumažėja ir taip sumažinama jiems daroma žala.

Kokia Procysbi nauda nustatyta tyrimuose?

Nustatyta, kad kas 12 val. vartojamas Procysbi bent taip pat veiksmingai, kaip kas 6 val. vartojamas Cystagon, palaiko priimtina cistino koncentraciją baltuosiuose kraujo kūneliuose (mažiau nei 1 nmol hemicistino/mg baltųjų kraujo kūnelių baltymo). Atliekant pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo 43 nefropatine cistinoze sergantys pacientai, 3 savaičių gydymo šiais dviem vaistais laikotarpiu reikšmingo vidutinio cistino kiekio baltuosiuose kraujo kūneliuose skirtumo nenustatyta. Vartojant Procysbi, baltuosiuose kraujo kūneliuose buvo $0,51 \text{ nmol}$ cistino/mg, o vartojant Cystagon – $0,44 \text{ nmol/mg}$.

Kokia rizika siejama su Procysbi vartojimu?

Dažniausi Procysbi šalutiniai reiškiniai (galintys pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra apetito sumažėjimas, vėmimas, pykinimas (šleikštulys), viduriavimas, letargija (energijos stoka) ir pireksija (karščiavimas). Išsamų visų šalutinių reiškinų, apie kuriuos pranešta gydant Procysbi, sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Procysbi negalima vartoti esant padidėjusiam jautrumui (alergijai) merkaptaminui, bet kuriai pagalbinei medžiagai arba penicilaminui. Taip pat jo negalima vartoti žindančioms moterims.

Kodėl Procysbi buvo patvirtintas?

Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) nusprendė, kad Procysbi nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES. CHMP atkreipė dėmesį, jog buvo įrodyta, kad Procysbi bent tiek pat veiksmingai, kaip Cystagon palaiko priimtina cistino koncentraciją baltuosiuose kraujo kūneliuose. Taip pat komitetas laikėsi nuomonės, jog vartojant skrandyje neirių preparatą – kadangi jį reikėtų vartoti rečiau – pacientai tiksliau laikytųsi gydytojo nurodymų, o cistinoze sergančių pacientų gyvenimo kokybė pagerėtų. Dėl Procysbi saugumo, CHMP laikėsi nuomonės, kad merkaptamino saugumo charakteristikos gerai iširtos ir Procysbi saugumas turėtų būti panašus į referencinio vaisto.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Procysbi vartojimą?

Siekiant užtikrinti kuo saugesnį Procysbi vartojimą, parengtas rizikos valdymo planas. Remiantis šiuo planu, į Procysbi preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtraukta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant atsargumo priemones, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Be to, Procysbi prekiaujanti bendrovė parengs visiems gydytojams, kurie turėtų naudoti šį vaistą gydydami savo pacientus, skirtą šviečiamąją medžiagą, kurioje turėtų būti pateikta su saugumu susijusi svarbi informacija, įskaitant informaciją apie tai, kad šis vaistas gali pakenkti negimusiam vaikui.

Kita informacija apie Procysbi

Europos Komisija 06.09.2013 suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Procysbi rinkodaros leidimą.

Išsamų Procysbi EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Daugiau informacijos apie gydymą Procysbi rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Procysbi santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2013-09.