



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/584578/2013
EMA/H/C/002465

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Procysbi merkaptamina

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Procysbi. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie go do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Celem dokumentu nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Procysbi.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Procysbi należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest lek Procysbi i w jakim celu się go stosuje?

Produkt Procysbi to lek zawierający substancję czynną merkaptaminę (znaną także jako cysteamina). Jest on stosowany u pacjentów z cystynozą nefropatyczną (nerkową). Cystynozą jest choroba dziedziczną powodującą gromadzenie się nadmiaru cystyny — aminokwasu naturalnie występującego w organizmie — w komórkach, zwłaszcza nerek i oczu, co prowadzi do uszkodzenia tych narządów.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z cystynozą choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 20 września 2010 r. produkt Procysbi uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Procysbi jest „lekiem hybrydowym”. Oznacza to, że jest on podobny do leku referencyjnego zawierającego tę samą substancję czynną, przy czym w przypadku produktu Procysbi dostępna jest postać leku, która umożliwia przedłużone uwalnianie substancji czynnej w organizmie. Lekiem referencyjnym dla produktu Procysbi jest lek Cystagon.

Jak stosować lek Procysbi?

Lek Procysbi wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinno zostać rozpoczęte pod nadzorem lekarza z doświadczeniem w leczeniu cystynozy.



Jest on dostępny w postaci kapsułek dojelitowych (25 mg i 75 mg). Termin „dojelitowy” oznacza, że zawartość kapsułki przechodzi przez żołądek bez rozpuszczenia się do momentu, gdy kapsułka znajdzie się w jelicie. Zalecana dawka dzienna jest obliczana na podstawie powierzchni ciała, przy czym dawkę wynoszącą $1,30 \text{ g/m}^2$ dzieli się na 2 dawki podawane co 12 godzin. Należy monitorować stężenie cystyny w białych krwinkach (mierzone jako nmol hemicystyny / mg białka zawartego w białych krwinkach) lub ewentualnie stężenie merkaptaminy we krwi, a także wykorzystać je w celu dostosowania dawki, która nie powinna przekraczać $1,95 \text{ g/m}^2/\text{dobę}$. Więcej informacji znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Jak działa lek Procysbi?

Substancja czynna leku Procysbi, merkaptamina, reaguje z cystyną, tworząc inny aminokwas zwany cysteiną oraz związek określany jako sól cysteinowo-cysteaminowa. Organizm jest w stanie usunąć tę sól z komórek. W ten sposób ilość zgromadzonej w narządach cystyny ulega zmniejszeniu, co ogranicza uszkodzenie tych narządów.

Jakie korzyści ze stosowania leku Procysbi wykazały badania?

Wykazano, że lek Procysbi podawany co 12 godzin jest co najmniej tak skuteczny w utrzymaniu dopuszczalnego stężenia cystyny w białych krwinkach (poniżej 1 nmol hemicystyny / mg białka zawartego w białych krwinkach) jak lek Cystagon podawany co 6 godzin. W badaniu głównym przeprowadzonym z udziałem 43 pacjentów z cystynozą nefropatyczną nie stwierdzono znaczącej różnicy pomiędzy średnimi stężeniami cystyny w białych krwinkach podczas trwającego 3 tygodnie leczenia za pomocą tych dwóch leków. Stężenie w przypadku leku Procysbi wynosiło 0,51 nmol/mg, a w przypadku leku Cystagon — 0,44 nmol/mg.

Jakie są zagrożenia związane ze stosowaniem leku Procysbi?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Procysbi (obserwowane u więcej niż 1 na 10 pacjentów) to: utrata apetytu, wymioty, nudności (mdłości), biegunka, letarg (brak energii) oraz gorączka. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Procysbi znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Procysbi nie należy stosować u osób, u których może występować nadwrażliwość (alergia) na jakąkolwiek postać merkaptaminy, którykolwiek z pozostałych składników produktu lub penicylaminę. Nie należy go również stosować u kobiet karmiących piersią.

Na jakiej podstawie zatwierdza się lek Procysbi?

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Procysbi przewyższają ryzyko, i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE. CHMP zauważył, że lek Procysbi okazał się co najmniej tak skuteczny w utrzymaniu dopuszczalnego stężenia cystyny w białych krwinkach, jak lek Cystagon. Komitet uznał również, że ze względu na mniejszą częstotliwość podawania dojelitowa postać leku poprawi przestrzeganie zaleceń terapeutycznych przez pacjentów z cystynozą, a także jakość życia tych pacjentów. W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania leku CHMP uznał, że profil bezpieczeństwa merkaptaminy jest dobrze znany i oczekuje się, że bezpieczeństwo stosowania leku Procysbi jest zbliżone do bezpieczeństwa stosowania leku referencyjnego.

Jakie środki przedsięwzięto w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Procysbi?

W celu zapewnienia możliwie najbezpieczniejszego stosowania leku Procysbi opracowano plan zarządzania ryzykiem. W oparciu o ten plan w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta leku Procysbi zawarto informacje dotyczące bezpieczeństwa, w tym odpowiednie środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów.

Dodatkowo firma wprowadzająca lek Procysbi do obrotu zapewni materiały informacyjne dla lekarzy przepisujących ten lek, zawierające ważne informacje dotyczące bezpieczeństwa stosowania leku, w tym informacje dotyczące ryzyka związanego z możliwym szkodliwym działaniem leku dla nienarodzonego dziecka.

Inne informacje dotyczące leku Procysbi

W dniu 06.09.2013 Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Procysbi do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące leku Procysbi znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Procysbi należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także częścią EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Procysbi znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Data ostatniej aktualizacji: 09.2013.