



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/584582/2013  
EMA/H/C/002465

## Rezumat EPAR destinat publicului

---

# Procysbi mercaptamină

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Procysbi. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Procysbi.

Pentru informații practice privind utilizarea Procysbi, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

## Ce este Procysbi și pentru ce se utilizează?

Procysbi este un medicament care conține substanța activă mercaptamină (cunoscută și sub numele de cisteamină). Acesta se utilizează la pacienții cu cistinoză nefropatică (renală). Cistinoza este o boală ereditară în care cantitățile excedentare de cistină, un aminoacid care se află în mod natural în sânge, se acumulează în interiorul celulelor, în special în cele din rinichi și din ochi, deteriorându-le.

Din cauza numărului mic de pacienți cu cistinoză, boala este considerată „rară”, iar Procysbi a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 20 septembrie 2010.

Procysbi este un „medicament hibrid”. Aceasta înseamnă că este similar cu un „medicament de referință” care conține aceeași substanță activă, însă Procysbi este disponibil sub o formă farmaceutică care permite eliberarea întârziată a substanței active în organism. Medicamentul de referință pentru Procysbi este Cystagon.

## Cum se utilizează Procysbi?

Procysbi se poate obține numai pe bază de rețetă și tratamentul trebuie început sub supravegherea unui medic cu experiență în tratamentul cistinozei.

Procysbi este disponibil sub formă de capsule gastrorezistente (25 și 75 mg). Gastrorezistent înseamnă că, după ce capsulele trec prin stomac, conținutul acestora este descompus doar atunci când ajung în



intestin. Doza zilnică recomandată este calculată în funcție de suprafața corporală, ca 1,30 g pe m<sup>2</sup>, fiind împărțită în 2 doze administrate la fiecare 12 ore. Nivelurile de cistină din globulele albe din sânge (care sunt măsurate ca nmol hemicistină pe mg proteină din globulele albe din sânge) sau, alternativ, concentrația de mercaptamină din sânge, trebuie monitorizate/monitorizată și utilizate/utilizată pentru ajustarea dozei, care nu trebuie să depășească niciodată 1,95 g/m<sup>2</sup> pe zi. Pentru mai multe informații, consultați prospectul.

## **Cum acționează Procysbi?**

Substanța activă din Procysbi, mercaptamina, reacționează cu cistina pentru a forma un alt aminoacid, numit cisteină, și un compus numit sare de cisteină-cisteamină. Organismul poate elimina această sare din celule. Prin urmare, cantitatea de cistină din organe se reduce, ceea ce limitează deteriorarea organelor respective.

## **Ce beneficii a prezentat Procysbi pe parcursul studiilor?**

Procysbi administrat la fiecare 12 ore s-a dovedit a fi cel puțin la fel de eficace ca Cystagon administrat la fiecare 6 ore în menținerea cantității de cistină din globulele albe din sânge la niveluri acceptabile (sub 1 nmol hemicistină pe mg proteină din globulele albe). Într-un studiu principal, care a inclus 43 de pacienți cu cistinoză nefropatică, nu au existat diferențe semnificative între nivelurile medii de cistină din globulele albe din sânge pe parcursul unui tratament cu durata de 3 săptămâni cu cele două medicamente. Nivelurile au fost de 0,51 nmol/mg cu Procysbi, comparativ cu 0,44 nmol/mg cu Cystagon.

## **Care sunt riscurile asociate cu Procysbi?**

Cele mai frecvente efecte secundare asociate cu Procysbi (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt pierderea poftei de mâncare, vărsături, greață, diaree, letargie (lipsă de energie) și pirexie (febră). Pentru lista completă a efectelor secundare raportate asociate cu Procysbi, consultați prospectul.

Procysbi este contraindicat la persoanele care sunt hipersensibile (alergice) la orice formă de mercaptamină sau la oricare dintre celelalte ingrediente sau la penicilamină. De asemenea, Procysbi este contraindicat la femeile care alăptează.

## **De ce a fost aprobat Procysbi?**

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a hotărât că beneficiile Procysbi sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE. CHMP a remarcat că Procysbi s-a dovedit a fi cel puțin la fel de eficace ca Cystagon în menținerea cantității de cistină în globulele albe din sânge la niveluri acceptabile. De asemenea, comitetul a considerat că forma farmaceutică gastrorezistentă, datorită administrării mai rare, ar trebui să îmbunătățească gradul de respectare a tratamentului și calitatea vieții pacienților cu cistinoză. Referitor la siguranța acestuia, CHMP a considerat că profilul de siguranță al mercaptaminei este bine stabilit, iar siguranța Procysbi ar trebui să fie similară cu cea a medicamentului de referință.

## **Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Procysbi?**

A fost elaborat un plan de management al riscurilor pentru ca Procysbi să fie utilizat în cel mai sigur mod posibil. Pe baza acestui plan, în Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru

Procysbi, au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

În plus, compania care comercializează Procysbi va furniza materiale educaționale tuturor medicilor care urmează să prescrie medicamentul, care conțin informații importante privind siguranța, inclusiv riscul ca medicamentul să poată dăuna copilului nenăscut.

## **Alte informații despre Procysbi**

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Procysbi, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 06.09.2013.

EPAR-ul complet pentru Procysbi este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Procysbi, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Procysbi este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 09-2013.