



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/704352/2016
EMA/H/C/000678

Kokkuvõte üldsusele

Cystadane

veevaba betaiin

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

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

Mis on Cystadane ja milleks seda kasutatakse?

Cystadane on homotsüstinuuria ravimiseks kasutatav ravim. Homotsüstinuuria on pärilik haigus, kus organism ei suuda aminohapet homotsüsteiini lagundada, mille tulemusena selle sisaldus organismis tõuseb. See põhjustab väga mitmesuguseid sümptomeid, sealhulgas halvenenud nägemist, luude nõrkust ja verevarustusprobleeme.

Cystadanet kasutatakse koos muu raviga, näiteks B6-vitamiini (püridoksiin), B12-vitamiini (kobalamiin), folaadi ja eridieediga.

Cystadane sisaldab toimeainena veevaba betaiini.

Et homotsüstinuuriaga patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Cystadane 9. juulil 2001 harvikravimiks.

Kuidas Cystadanet kasutatakse?

Ravi Cystadanega peab toimuma homotsüstinuuriaga patsientide ravi kogemusega arsti järelevalve all.

Cystadanet turustatakse suukaudse pulbrina. Cystadane tavaannus on 100 mg kehakaalu kilogrammi kohta ööpäevas jagatuna kaheks võrdseks annuseks. Annust võib kohandada ravivastuse järgi (mille jälgimiseks mõõdetakse homotsüsteiini sisaldust veres). Ravi eesmärk on hoida homotsüsteiini sisaldus vereplasmas alla 15 mikromooli või võimalikult väike. See saavutatakse tavaliselt kuu aja jooksul.



Cystadane pakend sisaldab 3 mõõtelusikat 100 mg, 150 mg ja 1 g pulbri mõõtmiseks. Ravim tuleb vahetult enne võtmist täielikult lahustada vees, mahlas, piimas, toitesegus või toidus.

Kuidas Cystadane toimib?

Betaiin on looduslik aine, mida eraldatakse suhkrupeedist. Homotsüstinuuria korral vähendab betaiin vere homotsüsteiinisaldust, mille tulemusena homotsüsteiin muundub tagasi aminohappeks metioniiniks. See aitab haigussümptomeid ohjeldada.

Milles seisneb uuringute põhjal Cystadane kasulikkus?

Ettevõtte esitas Cystadane kohta teaduskirjanduse andmeid, sealhulgas 202 teadet, milles kirjeldati mitmesugustes annustes manustatud Cystadane toimet homotsüsteiinisaldusele eri vanuses homotsüstinuuria patsientidel. Esitati ka teavet 140 patsiendi sümptomite, annuse ja ravi kestuse ning teiste kasutatavate ravimite kohta. Enamik patsientidest kasutas ka B6- või B12-vitamiini või folaati. Neist uuringutest saadud teavet võrreldi ravimata patsientide tulemustega, mida kirjeldati avaldatud teadetes.

Cystadanet kasutanud patsientidel vähenes homotsüsteiinisaldus rohkem kui ravimata patsientidel. Seda seostati südame-veresoonkonna sümptomite ning arenguprobleemide paranemisega ligikaudu kolmveerandil Cystadanet kasutanud patsientidel. Ravim oli efektiivne kõiki kolme liiki homotsüstinuuriaga patsientidel.

Mis riskid Cystadanega kaasnevad?

Cystadane kõige sagedam kõrvalnäht (esinenud enam kui 1 patsiendil 10st) on metioniinisalduse suurenemine veres. Cystadanet kasutavatel patsientidel tuleb jälgida metioniinisaldust, sest see võib tekitada ajuturse. Ajuturse sümptomitega, näiteks koos oksendamisega esinevate hommikuste peavaludega või nägemishäiretega patsiendid peavad pöörduma arsti poole, sest võib osutuda vajalikuks nende ravi Cystadanega katkestada.

Cystadane kohta teatatud kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Miks Cystadane heaks kiideti?

Inimravimite komitee otsustas, et kuigi Cystadane kohta on läbi viidud vähe süstemaatilisi uuringuid, on seda ravimit kasulik lisada homotsüstinuuria olemasolevale ravile, näiteks vitamiinilisandile ja eridieedi kasutamisele. Komitee märkis, et Cystadane ei asenda muud ravi.

Komitee leidis, et Cystadane kasulikkus kasutamisel vastavalt näidustusele homotsüstinuuria täiendava ravina on suurem kui sellega kaasnevad riskid. Komitee soovitas anda Cystadane müügiloa.

Mis meetmeid võetakse, et tagada Cystadane ohutu ja efektiivne kasutamine?

Cystadane tootja koostab ravimi ohutuse jälgimiseks seda ravimit kasutavate patsientide registri. Ettevõtte jälgib eelkõige ajuturse juhtumeid, mida esines vähestel patsientidel ravimi uuringute etapil.

Cystadane ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Muu teave Cystadane kohta

Euroopa Komisjon andis Cystadane müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 15. veebruaril 2007.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Cystadane kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Kui vajate Cystadanega 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 Cystadane kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 10-2016.