

EMA/450625/2012
EMA/H/C/000996

Julkinen EPAR-yhteenveto

Cayston

atstreonaami

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Cayston-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten lääkevalmistekomitea (CHMP) on arvioinut Cayston-lääkevalmistetta ja päättynyt puoltavaan lausuntoon myyntiluvan myöntämisestä sekä suosituksiin lääkevalmisteen käytön ehdoista.

Mitä Cayston on?

Cayston on kuiva-aine ja liuotin sumutinliuosta varten. Se sisältää vaikuttavana aineena atstreonaamia.

Mihin Caystonia käytetään?

Caystonia käytetään pysäyttämään krooninen (pitkäaikainen) *P. aeruginosa* -bakteerin aiheuttama keuhkoinfektio kystisestä fibroosista kärsivillä aikuisilla ja vähintään kuuden vuoden ikäisillä lapsilla.

Kystinen fibroosi on perinnöllinen sairaus, joka vaikuttaa keuhkojen limaa erittäviin soluihin sekä soluihin, jotka erittävät ruoansulatusnesteitä suoliston ja haiman rauhasista. Kystisessä fibroosissa nämä eritteet paksunevat, jolloin hengitystiet ahtautuvat ja ruoansulatusnesteiden virtaus estyy. Tämä aiheuttaa ruoansulatus- ja -imeytymisongelmia, jolloin kasvu hidastuu, ja pitkäaikaisia keuhkoinfektioita ja -tulehduksia, koska liiallinen lima ei poistu keuhkoista.

Koska bakteerin aiheuttamaa keuhkoinfektiota sairastavia potilaita, joilla on kystinen fibroosi, on vähän, sairaus katsotaan harvinaiseksi, ja Cayston on nimetty harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 21. kesäkuuta 2004.

Lääkevalmistetta saa vain lääkärin määräyksestä.

Miten Caystonia käytetään?

Caystonia käytetään sumuttimen kanssa (erityinen laite liuoksen muuttamiseksi aerosoliksi, jota potilas voi hengittää sisään). Caystonia annetaan kolme kertaa päivässä neljän viikon ajan, ja jokaisen

annoksen välissä pidetään vähintään neljän tunnin tauko. Ennen kutakin Cayston-annosta on käytettävä bronkodilataattoria (lääke, joka laajentaa keuhkojen hengitysteitä). Jos potilas saa useita inhalaatiohoitoja, ensin otetaan aina bronkodilataattoria, sen jälkeen mykolyyttiä (limaa ohentava lääke) ja lopuksi Caystonia. Mikäli lääkäri katsoo tarpeelliseksi jatkaa Cayston-hoitojaksoja ensimmäisen hoitojakson jälkeen, jokaisen neljän viikon Cayston-hoitojakson jälkeen suositellaan neljän viikon tauon pitämistä.

Miten Cayston vaikuttaa?

Kystisessä fibroosissa potilaan keuhkot tuottavat liian paljon paksua limaa, mikä edesauttaa bakteerien kasvamista. *P. aeruginosa* -infektiot, jotka saattavat aiheuttaa pitkäaikaisia keuhko-ongelmia, alkavat kystistä fibroosia sairastavilla potilailla yleensä kymmenen ensimmäisen elinvuoden aikana.

Caystonin vaikuttava aine atstreonaami on antibiootti, joka kuuluu beetalaktaamien ryhmään. Se vaikuttaa sitoutumalla *P. aeruginosa* -bakteerien pinnalla oleviin proteiineihin. Tämä estää bakteereja rakentamasta solunseiniään, mikä tappaa bakteerit.

Atstreonaamia on ollut saatavana injektiona 1980-luvulta lähtien arginiinisulolana. Caystonissa atstreonaami on lysiniisulolana, joten antibiootti voidaan hengittää suoraan keuhkoihin sen aiheuttamatta ärsytystä.

Miten Caystonia on tutkittu?

Caystonia verrattiin lumelääkkeeseen kahdessa päätutkimuksessa, joihin osallistui yhteensä 375 kystisestä fibroosista kärsivää potilasta, joilla oli *P. aeruginosan* aiheuttama pitkäaikainen keuhkoinfektio ja joista useimmat olivat aikuisia. Ensimmäisessä tutkimuksessa tehon pääasiallisena mittana oli se, kuinka kauan aikaa kului ennen kuin potilaat tarvitsivat muita antibiootteja inhaloituina tai injektiona suoneen. Toisessa tutkimuksessa tehon pääasiallisena mittana oli, kuinka potilaat arvioivat hengitysoireensa kystisen fibroosin vakioasteikolla. Kummassakin tutkimuksessa potilaita hoidettiin neljän viikon ajan.

Kolmannessa päätutkimuksessa, johon osallistui 268 potilasta (mukaan lukien 59 lasta, joiden ikä oli 6–17 vuotta), Caystonia verrattiin toiseen inhaloitavaan antibioottiin (tobramysiinisumutinliuos). Tehon pääasiallinen mitta oli potilaan uloshengityksen sekuntitilavuuden paraneminen (FEV₁, suurin ilmamäärä, jonka tutkittava pystyy hengittämään ulos sekunnissa).

Lisätutkimuksessa Caystonia verrattiin lumelääkkeeseen neljän viikon ajan potilailla, joilla oli lievä kystisen fibroosin aiheuttama keuhkosairaus. Siinä tarkasteltiin, kuinka hyvin keuhkot toimivat, sekä *P. aeruginosa* -bakteerien määrää potilaan erittämässä limassa ja potilaiden hengitysoireita.

Mitä hyötyä Caystonista on havaittu tutkimuksissa?

Cayston oli lumelääkettä tehokkaampi pysäyttämään *P. aeruginosa* -bakteerin aiheuttama keuhkoinfektio kystisestä fibroosista kärsivillä potilailla. Ensimmäisessä tutkimuksessa Caystonia saaneet potilaat tarvitsivat muita antibiootteja 92 päivän jälkeen verrattuna 71 päivään lumelääkettä saaneiden potilaiden kohdalla. Toisessa tutkimuksessa hengitysoireet paranivat Caystonia saaneilla potilailla verrattuna lumelääkettä saaneisiin potilaisiin.

Kolmas tutkimus osoitti, että Cayston oli tehokkaampi kuin vertailuantibiootti. Neljän hoitoviikon jälkeen iän, pituuden ja sukupuolen mukaan suhteutettu FEV₁-arvo oli 8,35 prosenttia Cayston-hoitoa saaneilla ja 0,55 prosenttia vertailulääkettä saaneilla. Kolmen hoitojakson jälkeen arvo parani Cayston-hoitoa saaneilla 2,05 prosenttia, mutta laski 0,66 prosenttia vertailulääkettä saaneilla. Lisäksi

keuhkojen toiminta parani 6–17-vuotiailla lapsilla sekä neljän hoitoviikon että kolmen hoitojakson jälkeen.

Lisätutkimus tuotti päätutkimusten kanssa yhdenmukaiset tulokset.

Mitä riskejä Caystoniin liittyy?

Caystonin yleisimmät sivuvaikutukset (useammalla kuin yhdellä potilaalla 10:stä) ovat vinkuva hengitys, yskä, kipu kurkussa ja äänihuulissa, nenän tukkeutuminen, dyspnea (hengenahdistus) ja kuume. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Caystonin ilmoitetuista sivuvaikutuksista.

Caystonia ei saa antaa potilaille, jotka ovat yliherkkiä (allergisia) atstreonaamille tai jollekin muulle valmisteen sisältämälle aineelle.

Miksi Cayston on hyväksytty?

Lääkevalmistekomitea (CHMP) totesi, että uusille kystisestä fibroosista kärsiville potilaille tarkoitetuille antibiooteille on lääketieteellinen tarve, koska monet näistä potilaista ovat jo tulleet resistenteiksi muille antibiooteille aikuisiksi tultuaan ja koska *P. aeruginosa* -keuhkoinfektiot aiheuttavat vakavia terveysongelmia kystisestä fibroosista kärsiville potilaille. Lääkevalmistekomitea katsoi, että Caystonin hyöty on sen riskejä suurempi ja suositteli myyntiluvan myöntämistä Caystonia varten.

Muita tietoja Caystonista

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Caystonia varten 21. syyskuuta 2009.

Caystonia koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lisätietoja Cayston-hoidosta saat pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon) tai lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Caystonia koskevasta lausunnosta on on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 07-2012.