

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Cystadane

vedetön betaiini

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Cystadane-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä sille ja suosituksiin sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Cystadanen käytöstä.

Potilas saa Cystadanen käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Cystadane on ja mihin sitä käytetään?

Cystadane on lääke, jota käytetään homokystinurian hoitoon. Homokystinuriassa, joka on periytyvä sairaus, homokysteiniiniaminohappo ei pilkkoudu, vaan sitä kerääntyy kehoon. Tästä aiheutuu erilaisia oireita, kuten näön huonontuminen, luuston heikkeneminen ja verenkierron ongelmia.

Cystadanea käytetään muiden hoitojen kuten B6-vitamiinin (pyridoksiini), B12-vitamiinin (kobalamiini), folaatin ja erityisdieetin kanssa.

Cystadanen vaikuttava aine on vedetön betaiini.

Homokystinuriaa sairastavia potilaita on vähän, joten sairaus katsotaan harvinaiseksi. Siksi Cystadane nimettiin 9. heinäkuuta 2001 harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke).

Miten Cystadanea käytetään?

Cystadane-hoito annetaan homokystinurian hoitoon perehtyneen lääkärin valvonnassa.

Cystadanea on saatavana suun kautta otettavana kuiva-aineena. Päivittäinen Cystadane-annos on yleensä 100 mg kehon painokiloa kohden jaettuna kahteen erilliseen annokseen. Annosta voidaan mukauttaa sen mukaan, miten potilas vastaa hoitoon (seurataan mittaamalla veren homokysteiniinipitoisuus). Hoidon tarkoituksena on pitää veren homokysteiniinipitoisuus alhaisempana kuin 15 mikromoolia tai mahdollisimman alhaisena. Tähän päästään yleensä kuukaudessa.



Cystadane toimitetaan yhdessä kolmen mittalusikan kanssa, joiden avulla voidaan annostella 100 mg, 150 mg tai 1 g kuiva-ainetta. Kuiva-aine liuotetaan hyvin veteen, mehuun, maitoon, ravintovalmisteeseen tai ruokaan ja sekoitus otetaan heti.

Miten Cystadane vaikuttaa?

Betaiini on luonnollinen aine, jota uutetaan sokerijuurikkaasta. Homokystinuriaa sairastavilla betaiini vähentää veren homokysteiinipitoisuutta muuntamalla homokysteiinin metioniiniaminohapoksi. Tämä auttaa helpottamaan sairauden oireita.

Mitä hyötyä Cystadanesta on havaittu tutkimuksissa?

Yhtiö esitti tieteellisestä kirjallisuudesta saatua tietoa Cystadanesta. Siihen sisältyi 202 raporttia, joissa kuvailtiin erisuuruusina annoksina annetun Cystadanen tehoa homokystinuriaan eri-ikäisillä potilailla. Tietoa toimitettiin myös oireista, annostuksesta ja hoidon pituudesta sekä muista otetuista lääkkeistä 140 potilaan osalta. Useimmat potilaat ottivat myös B6- tai B12-vitamiinia tai folaattia. Näistä tutkimuksista saatuja tietoja verrattiin julkaistuihin raportteihin, joissa kuvailtiin sairauden kulkua hoitamattomilla potilailla.

Cystadanea ottavilla potilailla ilmeni suurempaa homokysteiinin alenemista kuin hoitamattomilla potilailla. Tähän liittyi kardiovaskulaarisen järjestelmän (sydän ja verisuonet) oireiden ja kehitystä koskevien ongelmien helpottuminen noin kolmella neljäsosalla Cystadanea ottavista potilaista. Lääke tehosi potilailla kaikkiin homokystinurian kolmeen eri tyyppiin.

Mitä riskejä Cystadaneen liittyy?

Yleisin Cystadanen sivuvaikutus (useammalla kuin yhdellä potilaalla kymmenestä) on veren kohonnut metioniinipitoisuus. Cystadanea ottavien potilaiden veren metioniinipitoisuutta on seurattava, koska se voi johtaa aivoödeemaan (aivoturvotus). Potilaiden, joilla on aivoödeeman oireita kuten aamupäänsärkyä yhdessä oksentamisen tai näönmuutosten kanssa, tulisi keskustella lääkäriinsä kanssa mahdollisuudesta lopettaa Cystadane-hoito.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Cystadane on hyväksytty?

Viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi Cystadanea koskevien systemaattisten tutkimusten pienestä lukumäärästä huolimatta, että lääke on hyödyllinen lisälääkityksenä jo käytössä olevien homokystinuriahoitojen kanssa, kuten vitamiinilisien ottamisen ja erityisdieetin noudattamisen kanssa. Komitea totesi kuitenkin, että Cystadane ei korvaa muita hoitoja.

Komitea katsoi, että Cystadanen hyöty lisälääkityksenä homokystinurian hoidossa on sen riskejä suurempi, kun sitä käytetään käyttöaiheensa mukaisesti. Lääkevalmistekomitea suosittelee myyntiluvan myöntämistä Cystadanelle.

Miten voidaan varmistaa Cystadanen turvallinen ja tehokas käyttö?

Lääkkeen turvallisuuden valvomiseksi Cystadanea valmistava yhtiö laatii rekisterin potilaista, jotka käyttävät Cystadanea. Yhtiö seuraa erityisesti aivoödeemataapauksia, joita ilmeni pienellä ryhmällä potilaita lääkkeen testivaiheessa.

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Cystadaneen käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Muita tietoja Cystadanesta

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Cystadaneaa varten 15. helmikuuta 2007.

Cystadaneaa koskeva EPAR-arviointilausunto kokonaisuudessaan on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lisää tietoa Cystadanella annettavasta hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

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

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 10-2016.