

EMA/CHMP/371432/2015
EMA/H/C/000125

Julkinen EPAR-yhteenvedo

Cystagon

merkaptamiini

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

Mitä Cystagon on?

Cystagon on lääke, joka sisältää vaikuttavana aineena merkaptamiinia (tunnetaan myös nimellä kysteamiini). Sitä on saatavilla kapseleina (50 mg ja 150 mg).

Mihin Cystagonia käytetään?

Cystagonia käytetään potilailla, joilla on nefropaattinen (munuaisten) kystinoosi. Kystinoosi on harvinainen perinnöllinen sairaus, jossa liian suuret määrät kystiiniä (kehossa luonnollisesti esiintyvä aminohappo) kasaantuvat soluihin erityisesti munuaisissa ja silmissä, mikä vahingoittaa niitä.

Lääkettä saa vain lääkärin määräyksestä.

Miten Cystagonia käytetään?

Cystagon-hoito tulee aloittaa vain kystinoosin hoitoon erikoistuneen lääkärin valvonnassa.

Valkosolujen kystiinipitoisuutta on seurattava oikean annostuksen arvioimiseksi.

Alle 12-vuotiailla lapsilla suositeltu päivittäisannos lasketaan kehon pinta-alan perusteella (lasketaan potilaan pituuden ja painon perusteella); tällöin 1,30 g/m² jaetaan neljäksi annokseksi. Yli 12 vuotiaille ja yli 50 kg painaville suositeltu päivittäisannos on 2 g jaettuna neljäksi annokseksi. Aloitusannosten pitäisi olla kooltaan yhden neljäsosan ja kuudesosan väliltä suunnitelluista lopullisista annoksista. Alkuannosta nostetaan asteittain neljästä kuuteen viikon ajan. Enimmäisannos ei saa ylittää 1,95 g/m²/vrk. Lisätietoja on pakkausselosteessa.

Miten Cystagon vaikuttaa?

Cystagonin vaikuttava aine merkaptamiini reagoi kystiinin kanssa muodostaen toisen, kysteiiniksi kutsutun aminohapon sekä kysteiini-kysteamiinisulaksi kutsutun yhdisteen. Keho pystyy poistamaan tätä suolaa soluista. Tällöin elinten kystiinipitoisuus vähenee, mikä vähentää niihin kohdistuvia vaurioita.

Miten Cystagonia on tutkittu?

Cystagonia on tutkittu kolmessa päätutkimuksessa 234 potilaalla 12 vuoden aikana. Tutkimuksissa oli mukana lapsia ja vastikään mukaan otettuja potilaita, joilla tutkittiin kahta eri annostusta. Koska sairaus on erittäin vakava, eettisistä syistä ei ollut mahdollista verrata Cystagonia suoraan lumehoitoon. Vertailu tehtiin sen sijaan sellaiseen potilasryhmään, jota oli hoidettu lumelääkkeellä toisessa tutkimuksessa joka ei liittynyt tähän tutkimukseen. Tutkimuksissa tutkittiin potilaiden munuaisten toimintaa, elossaoloaikaa ja kasvunnopeutta.

Mitä hyötyä Cystagonista on havaittu tutkimuksissa?

Kolme tutkimusta osoittivat, että Cystagon viivyttää munuaisongelmia ja lykkää dialyysihoidon tai munuaissiirron tarvetta, kun hoito aloitetaan varhaisessa iässä potilailla. Cystagon lisää myös eloonjäämistä ja kasvun nopeutta lapsilla.

Mitä riskejä Cystagoniin liittyy?

Yleisimmät Cystagonin sivuvaikutukset (joita esiintyy 1–10 potilaalla sadasta) ovat ruokahaluttomuus, oksentelu, pahoinvointi, ripuli, letargia (uupumus) ja kuume. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Cystagonin ilmoitetusta sivuvaikutuksista.

Cystagonia ei saa käyttää henkilöillä, jotka ovat yliherkkiä (allergisia) kysteamiinille tai jollekin muulle valmistusaineelle tai erälle toiselle, penisillamiiniksi kutsutulle lääkkeelle. Sitä ei saa myöskään käyttää raskaana olevilla (erityisesti kolmen ensimmäisen kuukauden aikana) tai imettävillä naisilla, jos sen käyttö ei ole ilmeisen välttämätöntä.

Miksi Cystagon on hyväksytty?

Kystinoosi on harvinainen hengenvaarallinen sairaus, ja Cystagon katsotaan hyödylliseksi lääkkeeksi tässä sairaudessa. Lääkevalmistekomitea katsoi Cystagonin edut sen riskejä suuremmiksi ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille.

Muita tietoja Cystagonista

Euroopan komissio myönsi 23. kesäkuuta 1997 Cystagonille koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan.

Cystagonia koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan EMAn verkkosivustolla: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lisätietoja Cystagonista -hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 07-2013.