

EMA/584565/2013
EMA/H/C/002465

Julkinen EPAR-yhteenveto

Procysbi merkaptamiini

Tämä asiakirja on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee lääkevalmistetta nimeltä Procysbi. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päättänyt puoltamaan sitä koskevan myyntiluvan myöntämistä ja suosittamaan sen käyttöä koskevia ehtoja. Sen tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Procysbin käytöstä.

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

Mitä Procysbi on ja mihin sitä käytetään?

Procysbi on lääke, jonka vaikuttava aine on merkaptamiini (tunnetaan myös nimellä kysteamiini). Sillä hoidetaan potilaita, joilla on nefropaattinen (munuaisiin liittyvä) kystinoosi. Kystinoosi on perinnöllinen sairaus, jossa soluihin kertyy liikaa kystiiniä (elimistössä luontaisesti esiintyvää aminohappoa). Sitä kertyy etenkin munuaisiin ja silmiin, jotka vaurioituvat tämän vuoksi.

Koska kystinoosia sairastavia potilaita on vähän, sairautta pidetään harvinaisena; Procysbi nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 20. syyskuuta 2010.

Procysbi on ns. hybridilääke. Tämä tarkoittaa, että se on samanlainen kuin vertailuvalmiste, joka sisältää samaa vaikuttavaa ainetta, mutta Procysbi on saatavana sellaisenaan lääkemuotona, josta vaikuttava aine vapautuu hitaammin elimistöön. Procysbin vertailuvalmiste on Cystagon.

Miten Procysbiä käytetään?

Procysbiä saa vain lääkärin määräyksestä, ja lääkitys tulee aloittaa sellaisen lääkärin valvonnassa, jolla on kokemusta kystinoosin hoidosta.

Procysbiä on saatavana enterokapseleina (25 ja 75 mg). Entero-sana tarkoittaa, että kapselien sisältö kulkee mahan läpi muuttumattomana ja alkaa hajota vasta suolistossa. Suositeltu päivittäisannos lasketaan kehon pinta-alan perusteella. Päivittäisannos on 1,30 g neliometriä kohti jaettuna kahteen annokseen, jotka otetaan 12 tunnin välein. Valkosolujen kystiinipitoisuutta (joka mitataan sillä,

montako nanomoolia hemikystiiniä on milligrammassa valkosolun proteiinia) tai veren merkaptamiinipitoisuutta on seurattava annoksen säätämiseksi. Annos saa olla enintään 1,95 g neliömetriä kohti päivässä. Lisätietoja on pakkausselosteessa.

Miten Procysbi vaikuttaa?

Kun Procysbin vaikuttava aine, merkaptamiini, reagoi kystiinin kanssa, muodostuu toinen aminohappo, jonka nimi on kysteiini, sekä yhdiste, jonka nimi on kysteiini-kysteamiinisuolo. Elimistö pystyy poistamaan tämän suolan soluista. Elimissä olevan kystiinin määrä siis pienenee, mikä vähentää näiden elinten vaurioitumista.

Mitä hyötyä Procysbistä on havaittu tutkimuksissa?

Kun Procysbi otetaan 12 tunnin välein, sen on osoitettu olevan vähintään yhtä tehokas kuin Cystagon, joka otetaan kuuden tunnin välein, kun tavoitteena on pitää valkosolujen kystiinipitoisuus hyväksyttävällä tasolla (alle 1 nmol hemikystiiniä milligrammassa proteiinia). Päättökäytöksessä, johon osallistui 43 nefropaattista kystinoosia sairastavaa potilasta, ei ollut suurta eroa valkosolujen keskimääräisessä kystiinipitoisuudessa, kun näitä kahta lääkettä annettiin kolmen viikon ajan. Procysbillä saavutettu pitoisuus oli 0,51 nmol/mg, kun taas Cystagonilla saavutettu pitoisuus oli 0,44 nmol/mg.

Mitä riskejä Procysbiin liittyy?

Procysbin yleisimmät sivuvaikutukset (useammalla kuin yhdellä potilaalla kymmenestä) ovat ruokahaluttomuus, oksentelu, pahoinvointi, ripuli, letargia (energian puute) ja kuume. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Procysbin ilmoitetusta sivuvaikutuksista.

Procysbiä ei saa antaa henkilöille, jotka ovat yliherkkiä (allergisia) kaikille merkaptamiinin muodoille tai muille lääkevalmisteen ainesosille tai penisillamiinille. Sitä ei saa antaa imettäville naisille.

Miksi Procysbi on hyväksytty?

Viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Procysbin hyöty ovat sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa. Lääkevalmistekomitea totesi, että Procysbin osoitettiin olevan vähintään yhtä tehokas kuin Cystagon valkosolujen kystiinipitoisuuden pitämisessä hyväksyttävällä tasolla. Lisäksi komitea katsoi, että enterolääkemuodon odotetaan parantavan kystinoosipotilaiden hoitoon sitoutumista ja elämänlaatua, koska lääkettä otetaan harvemmin. Procysbin turvallisuudesta lääkevalmistekomitea totesi, että merkaptamiinin turvallisuusprofiili on hyvin vakiintunut, ja että Procysbin oletetaan olevan yhtä turvallinen kuin vertailuvalmisteen.

Miten voidaan varmistaa Procysbin turvallinen ja tehokas käyttö?

Procysbin mahdollisimman turvallisen käytön varmistamiseksi on kehitetty riskinhallintasuunnitelma. Tämän suunnitelman mukaisesti valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty Procysbiä koskevaa turvallisuustietoa, mukaan lukien terveydenhuollon ammattilaisille ja potilaille tarkoitetut asianmukaiset varotoimet.

Lisäksi Procysbiä markkinoiva yhtiö toimittaa perehdytysmateriaalia kaikille lääkäreille, joiden oletetaan määräävän lääkettä. Materiaali sisältää tärkeää turvallisuustietoa esimerkiksi siitä riskistä, että lääke voi olla haitallinen syntymättömälle lapselle.

Muita tietoja Procysbistä

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Procysbiä varten 06.09.2013.

Procysbiä koskeva EPAR-arviointilausunto on kokonaisuudessaan Euroopan lääkeviraston verkkosivustolla ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports.

Lisää tietoja Procysbi-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon) tai lääkäriltä tai apteekista.

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

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 09-2013.