

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

Résumé EPAR à l'intention du public

Cystadane

bétaïne anhydre

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Cystadane. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé l'a conduite à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Cystadane.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Cystadane, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

Qu'est-ce que Cystadane et dans quel cas est-il utilisé?

Cystadane est un médicament indiqué pour le traitement de l'homocystinurie, maladie congénitale dans laquelle l'organisme ne parvient pas à dégrader complètement l'acide aminé homocystéine qui, de ce fait, s'accumule dans l'organisme. Cette maladie entraîne un large éventail de symptômes, parmi lesquels des troubles de la vision, la fragilité des os et des problèmes circulatoires.

Ce médicament est utilisé en association avec d'autres traitements, tels que la vitamine B6 (pyridoxine), la vitamine B12 (cobalamine), le folate ainsi qu'un régime alimentaire spécifique.

Cystadane contient le principe actif bétaïne anhydre.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par l'homocystinurie, la maladie est dite «rare». C'est pourquoi Cystadane a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares) le mardi 9 juillet 2001.

Comment Cystadane est-il utilisé?

Le traitement par Cystadane doit être instauré par un médecin expérimenté dans le traitement des patient atteints d'homocystinurie.

Cystadane est disponible sous forme de poudre à prendre par voie orale. La dose habituelle de Cystadane est de 100 mg par kilogramme de poids corporel par jour, divisée en trois doses séparées.



La dose peut être ajustée en fonction de la réponse au traitement (par la mesure de la concentration d'homocystéine dans le sang). L'objectif du traitement est de maintenir la concentration sanguine d'homocystéine à un niveau inférieur à 15 micromoles ou aussi bas que possible. Ces taux sont généralement atteints au bout d'un mois.

Cystadane est fourni avec 3 cuillères mesures pour 100 mg, 150 mg et 1 g de poudre. Diluer entièrement dans de l'eau, du jus de fruit, du lait, une préparation ou des aliments juste avant la prise.

Comment Cystadane agit-il?

La bétaine est une substance naturelle extraite de la betterave sucrière. Dans l'homocystinurie, la bétaine réduit la concentration d'homocystéine dans le sang en convertissant l'homocystéine en méthionine (un acide aminé), ce qui permet d'améliorer les symptômes de la maladie.

Quels sont les bénéfices de Cystadane démontrés au cours des études?

La société a présenté des informations sur Cystadane issues de la littérature scientifique, notamment 202 rapports décrivant les effets de Cystadane, administré à différentes doses, sur les concentrations d'homocystéine chez des patients d'âges variés atteints d'homocystinurie. Pour 140 patients, des informations relatives à leurs symptômes, à la dose, à la durée du traitement et aux médicaments administrés de façon concomitante ont également été fournies. La plupart des patients prenaient également de la vitamine B6 ou B12 ou du folate. Les informations relatives à ces études ont été comparées aux rapports publiés décrivant les résultats thérapeutiques de patients non traités atteints de la maladie.

Les patients traités par Cystadane ont présenté des baisses plus importantes des concentrations d'homocystéine que les patients non traités. Ces baisses ont été accompagnées d'une amélioration des symptômes affectant le système cardiovasculaire (cœur et vaisseaux sanguins) et d'une amélioration des troubles du développement chez près des trois quarts des patients traités par Cystadane. Le médicament a été efficace chez les patients présentant les trois types d'homocystinurie.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Cystadane?

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Cystadane (chez plus d'un patient sur 10) sont des taux élevés de méthionine dans le sang. La concentration de méthionine doit être surveillée chez les patients traités par Cystadane, car son augmentation peut être associée à un œdème cérébral (gonflement dans le cerveau). Les patients présentant des symptômes d'œdème cérébral, comme des maux de tête le matin accompagnés de vomissements, ou des troubles de la vision, doivent le signaler à leur médecin, car le traitement par Cystadane ne doit pas être interrompu.

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions, voir la notice.

Pourquoi Cystadane est-il approuvé?

Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence a estimé qu'en dépit du nombre limité d'études systématiques sur Cystadane, le médicament était utile en association aux traitements existants de l'homocystinurie, comme la supplémentation en vitamines et un régime alimentaire spécial. Le comité a noté que Cystadane ne pouvait se substituer aux autres traitements.

Le comité a estimé que le profil bénéfice-risque de Cystadane était positif en adjonction pour le traitement de l'homocystinurie, lorsqu'il est utilisé conformément à son indication. Le comité a recommandé l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché pour Cystadane.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Cystadane?

La société qui fabrique Cystadane va constituer un registre de patients prenant ce médicament pour surveiller sa sécurité. La société va notamment surveiller les cas d'œdème cérébral, effet observé chez un petit nombre de patients pendant les tests du médicament.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Cystadane ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Autres informations relatives à Cystadane

La Commission européenne a délivré une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'Union européenne pour Cystadane, le vendredi 15 février 2007.

L'EPAR complet relatif à Cystadane est disponible sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Pour plus d'informations sur le traitement par Cystadane, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Cystadane est disponible sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Dernière mise à jour du présent résumé: 10-2016.