



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Cystadane

bezvodni betain

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o procjeni (EPAR) lijeka Cystadane. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek kako bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o primjeni lijeka Cystadane.

Praktične informacije o primjeni lijeka Cystadane bolesnici trebaju pročitati u uputi o lijeku, odnosno obratiti se svom liječniku ili ljekarniku.

Što je Cystadane i za što se koristi?

Cystadane je lijek koji se koristi za liječenje homocistinurije, nasljedne (genetske) bolesti u kojoj se u organizmu aminokiselina homocistein ne može do kraja razgraditi te se stoga nakuplja u tijelu. To uzrokuje niz simptoma kao što su poremećaji vida, slabljenje kostiju i problemi s cirkulacijom.

Primjenjuje se zajedno s drugim pripravcima kao što su vitamin B6 (piridoksin), vitamin B12 (kobalamin), folat i poseban način prehrane.

Cystadane sadrži djelatnu tvar bezvodni betain.

Budući da je broj bolesnika s homocistinurijom nizak, dotična se bolest smatra „rijetkom” te je Cystadane dobio status „lijeka za liječenje bolesti” 9. srpnja 2001.

Kako se Cystadane koristi?

Primjenu lijeka Cystadane treba nadzirati liječnik iskusan u liječenju bolesnika s homocistinurijom.

Cystadane je dostupan u obliku praška i treba se primijeniti kroz usta. Preporučena doza lijeka Cystadane je 100 mg dnevno po kilogramu tjelesne težine, podijeljeno u dvije jednake doze. Doza se može prilagoditi ovisno o reakciji na liječenje (nadzire se mjerenjem razine homocisteina u krvi). Cilj liječenja je zadržati razinu homocisteina u krvi ispod 15 mikromola ili što niže. To se obično postiže u roku od mjesec dana.



Cystadane se isporučuje s 3 žličice s mjerom za 100 mg, 150 mg i 1 g praška. Prašak se treba u potpunosti otopiti u vodi, soku, mlijeku, adaptiranom mlijeku ili hrani tik prije primjene.

Kako djeluje Cystadane?

Betain je prirodna tvar koja se dobiva iz šećerne repe. Kod homocistinurije betain smanjuje razinu homocisteina u krvi pretvarajući homocistein u aminokiselinu metionin. To pomaže u smanjenju simptoma bolesti.

Koje su koristi lijeka Cystadane dokazane u ispitivanjima?

Tvrtka je predstavila podatke o lijeku Cystadane iz znanstvene literature, što obuhvaća 202 izvješća koja opisuju kako različite doze lijeka Cystadane djeluju na razinu homocisteina u bolesnika različite dobi s homocistinurijom. Navedeni su podatci o simptomima, dozi, trajanju liječenja i primjeni drugih lijekova za 140 bolesnika. Većina bolesnika uzimala je i vitamine B6 ili B12 ili folat. Podatci iz tih ispitivanja uspoređeni su s podacima iz objavljenih izvješća koja opisuju što se dogodilo s bolesnicima s homocistinurijom koji nisu liječeni.

Izgleda da su bolesnici koji su uzimali lijek Cystadane imali veća smanjenja razine homocisteina u krvi u odnosu na bolesnike koji ga nisu uzimali. To je povezano sa smanjenjem simptoma koji utječu na kardiovaskularni sustav (srce i krvne žile), kao i s ublažavanjem razvojnih problema u tri četvrtine bolesnika koji uzimaju Cystadane. Lijek je djelotvoran u bolesnika koji boluju od sve tri vrste homocistinurije.

Koji su rizici povezani s lijekom Cystadane?

Najčešće nuspojave lijeka Cystadane (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) su povećane razine metionina u krvi. Kod bolesnika koji uzimaju Cystadane potrebno je pratiti razinu metionina u krvi jer može doći do oticanja mozga (cerebralnog edema). Bolesnici koji imaju simptome cerebralnog edema kao što su jutarnje glavobolje popraćene povraćanjem ili poremećaj vida, moraju se obratiti liječniku jer će možda biti potrebno prekinuti terapiju lijekom Cystadane.

Potpuni popis svih nuspojava i ograničenja potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Cystadane odobren?

Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) pri Agenciji zaključio je da je lijek Cystadane koristan kada se doda postojećem liječenju homocistinurije kao što je primjena vitaminskih dodataka i poseban režim prehrane, iako je provedeno tek nekoliko sustavnih ispitivanja tog lijeka. Odbor je zaključio da Cystadane ne može zamijeniti druga liječenja.

Odbor je odlučio je da koristi lijeka Cystadane nadmašuju s njim povezane rizike u dodatnom liječenju homocistinurije, ako se koristi u skladu s indikacijama. Odbor je preporučio izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Cystadane.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Cystadane?

Tvrtka koja stavlja na tržište lijek Cystadane uspostaviti će registar bolesnika koji uzimaju lijek radi nadzora sigurnosti lijeka. Tvrtka će posebno nadzirati slučajeve cerebralnog edema koji je primijećen kod malog broja bolesnika tijekom ispitivanja lijeka.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Cystadane nalaze se također u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Ostale informacije o lijeku Cystadane

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet lijeka Cystadane u promet koje vrijedi na prostoru Europske unije od 15. veljače 2007.

Cjeloviti EPAR za lijek Cystadane nalazi se na internetskim stranicama Agencije [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Više informacija o liječenju lijekom Cystadane pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a), odnosno obratite se svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti o lijeku Cystadane možete naći na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Sažetak je posljednji put ažuriran u: 10. 2016.