

EMA/429824/2013
EMA/H/C/000125

EPAR, sažetak za javnost

Cystagon

merkaptamin

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije (EPAR) o lijeku Cystagon. Objašnjava kako je Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) ocijenio lijek da bi donio svoje mišljenje u korist izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet te preporuke o uvjetima za primjenu lijeka Cystagon.

Što je Cystagon?

Cystagon je lijek koji sadrži djelatnu tvar merkaptamin (također poznat pod nazivom cisteamin). Dostupan je kao kapsule (50 i 150 mg).

Za što se Cystagon koristi?

Cystagon se koristi u bolesnika koji imaju nefropatsku (bubrežnu) cistinozu. Cistinoza je rijetka nasljedna bolest kod koje se prekomjerne količine cistina, aminokiseline koja se prirodno nalazi u tijelu, nakupljaju unutar stanica, posebice u bubrezima i očima, pritom ih oštećujući.

Ovaj se lijek izdaje samo na liječnički recept.

Kako se Cystagon koristi?

Terapiju lijekom Cystagon treba započeti liječnik koji ima iskustva u liječenju cistinoze.

Koncentracije cistina u bijelim krvnim stanicama treba pratiti i koristiti za potrebe prilagodbe doze.

Kod djece do 12 godina, preporučena dnevna doza određuje se u odnosu na tjelesnu površinu (koja se izračunava na temelju visine i težine bolesnika), i to 1,30 g po m² podijeljeno u 4 doze. Kod bolesnika starijih od 12 godina i težih od 50 kg, preporučena dnevna doza iznosi 2 g podijeljena u 4 doze. Početna doza treba odgovarati količini od jedne šestine do jedne četvrtine konačne očekivane doze. Početnu dozu treba povećavati postupno tijekom razdoblja od 4 do 6 tjedana. Maksimalna doza ne smije premašiti 1,95 g po m² po danu. Za dodatne informacije vidjeti uputu o lijeku.

Kako djeluje Cystagon?

Djelatna tvar lijeka Cystagon, merkaptamin, reagira s cistinom i pritom se stvara druga aminokiselina naziva cistein te spoj naziva cistein-cisteaminska sol. Tijelo može ukloniti ovu sol iz stanica. Količina cistina u organima stoga se smanjuje, čime se ograničava njihovo oštećenje.

Kako je Cystagon ispitivan?

Cystagon je istražen u tri glavna ispitivanja koja su obuhvatila 234 bolesnika starija od 12 godina. Ta su ispitivanja uključivala djecu i novoregrutirane bolesnike u kojih su testirane dvije različite doze. Budući da je bolest vrlo ozbiljna, iz etičkih razloga nije bilo moguće usporediti lijek Cystagon izravno s placebom (liječenjem bez djelatne tvari). Umjesto toga, usporedba je napravljena s grupom bolesnika koja je liječena bez djelatne tvari u sklopu drugog nepovezanog ispitivanja. Ispitivanjima je istražena funkcija bubrega, preživljenje i stopa rasta bolesnika.

Koje su koristi lijeka Cystagon dokazane u ispitivanjima?

Navedenim trima ispitivanjima dokazano je da Cystagon odgađa probleme s bubrežima te potrebu za dijalizom ili transplantacijom bubrega ako terapija započne u ranoj dobi. Također poboljšava preživljenje i stopu rasta u liječene djece.

Koji su rizici povezani s lijekom Cystagon?

Najčešće nuspojave lijeka Cystagon (uočene u više od 1 bolesnika na 10) su gubitak apetita, povraćanje, mučnina (osjećaj slabosti), proljev, letargija (manjak energije) i pireksija (vrućica). Potpuni popis nuspojava zabilježenih pri primjeni lijeka Cystagon potražite u uputi o lijeku.

Cystagon se ne smije primjenjivati u osoba koje su preosjetljive (alergične) na cisteamin ili na bilo koju drugu pomoćnu tvar ili bilo koji drugi lijek naziva penicilamin. Ne smije se koristiti ni u žena koje doje ili koje su trudne (posebice tijekom prva tri mjeseca) osim ako nije potpuno neophodno.

Zašto je lijek Cystagon odobren?

Cistinoza je rijetka, smrtonosna bolest, a Cystagon se smatra korisnim lijekom za tu bolest. CHMP je odlučio da koristi lijek Cystagon nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio izdavanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Ostale informacije o lijeku Cystagon

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet koje je za lijek Cystagon na snazi u Europskoj uniji od 23. lipnja 1997.

Cjeloviti EPAR nalazi se na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports Više informacija o terapiji lijekom Cystagon pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) ili se obratite svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak je posljednji put ažuriran u 07.2013.