

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Cystadane

vízmentes betain

Ez a dokumentum a Cystadane-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Cystadane alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Cystadane alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer a Cystadane és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Cystadane-t homociszteinuria kezelésére alkalmazzák. Ez egy örökletes betegség, amely során a homocisztein nevű aminosav nem tud lebomlani, így felhalmozódik a szervezetben. Ez számos tünetet okoz, többek között gyengült látóképességet, a csontok gyengülését és keringési problémákat.

A gyógyszert egyéb kezelésekkel, például B6-vitaminnal (piridoxin), B12-vitaminnal (kobalamin), foláttal és speciális étrenddel alkalmazzák együtt.

A Cystadane hatóanyagként vízmentes betaint tartalmaz.

Mivel a homociszteinuriában szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Cystadane-t 2001. július 9-én „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették.

Hogyan kell alkalmazni a Cystadane-t?

A Cystadane-kezelést a homociszteinuria kezelésében tapasztalt orvos felügyelete mellett kell végezni.

A Cystadane szájon át alkalmazandó por formájában kapható. A Cystadane szokásos adagja naponta 100 mg testtömeg-kilogrammonként, amelyet két egyenlő adagra kell elosztani. Az adagot a kezelésre adott (a vér homocisztein szintjének mérésével nyomon követett) választól függően módosítani lehet.



A kezelés célja, hogy a homocisztein szintjét a vérben 15 mikromol alatt, illetve a lehető legalacsonyabb szinten tartsák. Ez általában egy hónapon belül érhető el.

A Cystadane-hoz 3 adagolókanalat mellékelnek, amelyekkel 100 mg, 150 mg és 1 g por mérhető ki. A port vízben, gyümölcslemben, tejben, babatápszerben vagy ételben kell teljesen feloldani, közvetlenül a bevétel előtt.

Hogyan fejt ki hatását a Cystadane?

A betain egy természetes anyag, amelyet cukorrépából vonnak ki. A homociszteinuria esetében a betain azáltal csökkenti a homocisztein szintjét a vérben, hogy a homociszteint metionin aminosavvá alakítja. Ez segíti a betegség tüneteinek javítását.

Milyen előnyei voltak a Cystadane alkalmazásának a vizsgálatok során?

A vállalat a tudományos szakirodalomból nyújtott be adatokat a Cystadane-ra vonatkozóan. Köztük 202 jelentést, amelyek a különböző adagokban alkalmazott Cystadane-nak a homocisztein szintjére gyakorolt hatásait írták le különböző korú, homociszteinuriában szenvedő betegeknél. 140 beteg esetében a tüneteikről, az adagolásról és a kezelés időtartamáról, valamint az egyéb szedett gyógyszerekről is benyújtottak információt. A betegek nagy része B6- vagy B12-vitamint, illetve folátot is szedett. Az e vizsgálatokból származó adatokat a betegségben szenvedő, kezeletlen betegek állapotának alakulásáról közzétett jelentésekkel hasonlították össze.

A Cystadane-t kapó betegeknél nagyobb mértékben csökkent a homocisztein szintje, mint a nem kezelt betegeknél. A Cystadane-t kapó betegek körülbelül háromnegyedénél ehhez a szív-érrendszert érintő tünetek, illetve a fejlődési problémák javulása társult. A gyógyszer a homociszteinuria mindhárom típusában szenvedő betegeknél hatékony volt.

Milyen kockázatokkal jár a Cystadane alkalmazása?

A Cystadane leggyakoribb mellékhatása (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezik) a vér emelkedett metioninszintje. A Cystadane-t kapó betegeknél nyomon kell követni a metionin szintjét, mivel agyi ödémához (agyi duzzanat) vezethet. Az agyi ödéma tüneteit, például hányással járó reggeli fejfájást vagy a látás megváltozását észlelő betegek forduljanak kezelőorvosukhoz, mivel a Cystadane-kezelés megszakítására lehet szükség.

Az összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Cystadane forgalomba hozatalát?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy bár a Cystadane-ra vonatkozóan kevés szisztematikus vizsgálatot végeztek, a gyógyszer hasznos, ha azt a homociszteinuria meglévő kezelése – például vitaminpótlás és különleges étrend – mellett adják. A bizottság megjegyezte, hogy a Cystadane nem helyettesít más kezeléseket.

A bizottság megállapította, hogy a Cystadane alkalmazásának előnyei a homociszteinuria kiegészítő kezelésében meghaladják a kockázatokat, amennyiben azt a javallatának megfelelően alkalmazzák. A bizottság javasolta a Cystadane-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Cystadane biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Cystadane-t gyártó vállalat a gyógyszer biztonságosságának nyomon követése érdekében nyilvántartást fog készíteni az azt szedő betegekről. A vállalat különösen a gyógyszer vizsgálata során néhány betegnél megfigyelt agyi ödéma eseteit fogja nyomon követni.

A Cystadane biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Cystadane-nal kapcsolatos egyéb információ

2007. február 15-én az Európai Bizottság a Cystadane-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A Cystadane-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Amennyiben a Cystadane-nal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Cystadane-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 10-2016.