



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371434/2015
EMA/H/C/000125

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Cystagon

merkaptamin

Ez a Cystagon-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságának (CHMP) a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett a forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és a Cystagon alkalmazási feltételeire vonatkozó ajánlásaihoz.

Milyen típusú gyógyszer a Cystagon?

A Cystagon egy merkaptamin (más néven ciszteamin) nevű hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Kapszula formájában kapható (50 és 150 mg).

Milyen betegségek esetén alkalmazható a Cystagon?

A Cystagon-t a nefropátiás (vese-) cisztinózisban szenvedő betegek kezelésére használják. A cisztinózis egy ritka, örökletes betegség, amelynél a cisztin – egy, a szervezetben természetes módon jelen lévő aminosav – túlzott mennyiségben halmozódik fel a sejtekben, különösen a vese és a szem sejtjeiben, és károsítja azokat.

A gyógyszer csak receptre kapható.

Hogyan kell alkalmazni a Cystagon-t?

A Cystagon-kezelést a cisztinózis kezelésében jártas orvosnak kell megkezdenie.

A fehérvérsejtek cisztinszintjeit folyamatosan ellenőrizni kell, és az adagolást ennek alapján kell beállítani.

Gyermekek esetén 12 éves korig a javasolt napi dózist a testfelület alapján kell kiszámítani (amely a beteg magasságából és testsúlyából kapható meg) a következőképpen: 1,30 g/m², négy részre osztva. 12 évesnél idősebb és 50 kg-nál nagyobb testsúlyú betegeknél a javasolt napi dózis 2 g, négy részre osztva. A kezdő adag a tervezett végleges adag egynegyed-egyhatod része. A kezdő adagot 4-6 héten



át fokozatosan kell emelni. A maximális adag sohasem haladhatja meg a napi 1,95 g/m²-t. A további információkat lásd a betegtájékoztatóban!

Hogyan fejtí ki hatását a Cystagon?

A Cystagon hatóanyaga, a merkaptamin, a cisztinnel reakcióba lépve egy cisztein nevű másik aminosavat, valamint egy cisztein-ciszteamin só nevű vegyületet képez. Ezt a sót a szervezet képes a sejtekből eltávolítani. A cisztin mennyisége így csökken a szervezetben, mérsékelve ezáltal a szerveket ért káros hatást.

Milyen módszerekkel vizsgálták a Cystagon-t?

A Cystagon-t 12 éven át, három fő vizsgálatban tanulmányozták, összesen 234 beteg bevonásával. A vizsgálatokban gyermekek és újonnan felvett betegek vettek részt, akiknél két különböző dózist teszteltek. Mivel a betegség nagyon súlyos, a Cystagon-t etikai okokból nem lehetett közvetlenül placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel) összehasonlítani. Ehelyett az összehasonlítást olyan betegek csoportjával végezték, akik egy másik, nem kapcsolódó vizsgálat keretében kaptak hatóanyag nélküli kezelést. A vizsgálatok során a betegek vesefunkcióját, túlélését és növekedési rátáját tanulmányozták.

Milyen előnyei voltak a Cystagon alkalmazásának a vizsgálatok során?

A három vizsgálat kimutatta, hogy a Cystagon a kezelés korai életszakaszban való megkezdése esetén késlelteti a veseelégtelenség kialakulását, illetve a dialízis vagy a veseátültetés szükségessé válását. Ezenfelül a kezelt gyermekeknél növeli a túlélés esélyét és javítja a növekedési rátát.

Milyen kockázatokkal jár a Cystagon alkalmazása?

A Cystagon leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezik) az étvágytalanság, hányás, hányinger, hasmenés, levertség és a láz. A Cystagon alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolását lásd a betegtájékoztatóban!

A Cystagon nem alkalmazható olyan személyeknél, akik túlérzékenyek (allergiásak) a ciszteaminnal, a készítmény bármely más összetevőjével, illetve egy másik gyógyszerrel, a penicillammal szemben. Nem alkalmazható továbbá szoptató anyáknál és terhes nőknél (különösen a terhesség első három hónapjában), hacsak ez nem egyértelműen szükséges.

Miért engedélyezték a Cystagon forgalomba hozatalát?

A cisztinózis egy ritka, halálos betegség, amelyre a Cystagon-t hasznos gyógyszernek tekintik. A CHMP megállapította, hogy a Cystagon alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszerre vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását.

A Cystagon-nal kapcsolatos egyéb információ:

1997. június 23-án az Európai Bizottság a Cystagon-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

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

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 07-2013.