



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/450625/2012
EMA/H/C/000996

Riassunto destinato al pubblico

Cayston

aztreonam

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Cayston. Illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale ed è giunto a formulare un parere favorevole al rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di Cayston.

Che cos'è Cayston?

Cayston è una polvere e un solvente per la preparazione di una soluzione per nebulizzatore, contenente il principio attivo aztreonam.

Per che cosa si usa Cayston?

Cayston è indicato per eliminare le infezioni polmonari protratte nel tempo dovute ai batteri *P. aeruginosa* negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a sei anni affetti da fibrosi cistica.

La fibrosi cistica è una malattia ereditaria che colpisce le cellule che secernono muco nei polmoni e le cellule che secernono succhi gastrici dalle ghiandole dell'intestino e del pancreas. Questo porta a problemi di digestione e di assorbimento degli alimenti con conseguente scarsa crescita nonché infezione e infiammazione a lungo termine dei polmoni per l'eccesso di muco che non viene eliminato.

Poiché il numero di pazienti affetti da infezioni polmonari batteriche con fibrosi cistica è basso, la malattia è considerata "rara" e Cayston è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 21 giugno 2004.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Come si usa Cayston?

Cayston va usato con un nebulizzatore (speciale apparecchio che trasforma la soluzione in un aerosol che il paziente può respirare). Cayston è somministrato tre volte al giorno per quattro settimane, con

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 **Facsimile** +44 (0)20 7418 8416

E-mail info@ema.europa.eu **Website** www.ema.europa.eu

An agency of the European Union



un intervallo di almeno quattro ore tra ogni dose. Si deve utilizzare un broncodilatatore (un medicinale che allarga le vie respiratorie nei polmoni) prima di ogni dose di Cayston. Se il paziente riceve trattamenti multipli per inalazione, il broncodilatatore deve sempre essere assunto per primo, seguito da un mucolitico (un medicinale che rende il muco meno denso) e per ultimo Cayston. Se il medico ritiene che dopo il primo ciclo siano necessari ulteriori cicli di trattamento con Cayston, un intervallo di quattro settimane è raccomandato ogni quattro settimane di trattamento con Cayston.

Come agisce Cayston?

La fibrosi cistica provoca nei polmoni dei pazienti una produzione eccessiva di muco denso, consentendo ai batteri di crescere più facilmente. Nei pazienti con fibrosi cistica, le infezioni da *P. aeruginosa* iniziano solitamente nei primi 10 anni di vita e possono causare problemi polmonari a lungo termine.

Il principio attivo di Cayston, aztreonam, è un antibiotico appartenente al gruppo dei "beta-lattamici". Agisce legandosi a proteine presenti sulla superficie dei batteri *P. aeruginosa*. Ciò impedisce ai batteri di costruire le proprie pareti cellulari, il che li uccide.

Aztreonam è disponibile come iniezione dagli anni ottanta come "sale di arginina". In Cayston, aztreonam è disponibile come "sale di lisina", che consente all'antibiotico di essere respirato direttamente nei polmoni senza provocare irritazioni.

Quali studi sono stati effettuati su Cayston?

Cayston è stato confrontato con placebo (trattamento fittizio) in due studi principali su un totale di 375 pazienti con fibrosi cistica, che presentavano infezioni polmonari protratte nel tempo, dovute a *P. aeruginosa*, la maggior parte dei quali erano adulti. Nel primo studio, come principale misura di efficacia è stato considerato il periodo di tempo trascorso prima che insorgesse la necessità di somministrare ai pazienti altri antibiotici per inalazione o per iniezione endovenosa. Nel secondo studio, la principale misura di efficacia è stata la valutazione dei sintomi respiratori da parte dei pazienti su una scala standard per la fibrosi cistica. In questi due studi, i pazienti sono stati trattati per quattro settimane.

Un terzo studio che ha interessato 268 pazienti (tra cui 59 bambini con un'età compresa tra i sei e i diciassette anni) ha confrontato Cayston con un altro antibiotico per inalazione (tobramicina soluzione per nebulizzatore). La principale misura dell'efficacia si basava sul miglioramento dei volumi espiratori forzati dei pazienti (FEV₁, il massimo volume di aria che una persona può espirare in un secondo).

Uno studio aggiuntivo ha confrontato quattro settimane di Cayston con il placebo nei pazienti con malattia polmonare lieve dovuta alla fibrosi cistica. Ha osservato la funzionalità dei polmoni, la quantità dei batteri *P. aeruginosa* nei muco dei pazienti e i loro sintomi respiratori.

Quali benefici ha mostrato Cayston nel corso degli studi?

Cayston è stato più efficace del placebo nell'eliminare le infezioni polmonari dovute ai batteri *P. aeruginosa* nei pazienti affetti da fibrosi cistica. Nel primo studio, per i pazienti che hanno ricevuto Cayston sono stati necessari altri antibiotici dopo 92 giorni, rispetto ai 71 giorni per i pazienti che hanno ricevuto placebo. Nel secondo studio, i sintomi respiratori sono migliorati nei pazienti che hanno ricevuto Cayston, rispetto ai pazienti che hanno ricevuto placebo.

Il terzo studio ha dimostrato che Cayston aveva un confronto favorevole con l'antibiotico comparatore: dopo quattro settimane di trattamento, l'aumento di FEV₁ regolato per età, altezza e sesso era dell'8,35% con Cayston e dello 0,55% con il comparatore; dopo tre cicli di trattamento l'aumento con

Cayston era del 2,05% in confronto a una diminuzione dello 0,66% con il comparatore. Un miglioramento della funzione polmonare è stato anche riscontrato nei bambini dai sei ai 17 anni, sia dopo quattro settimane di trattamento sia dopo tre cicli di trattamento.

Lo studio aggiuntivo ha prodotto risultati coerenti con quelli degli studi principali.

Qual è il rischio associato a Cayston?

Gli effetti indesiderati più comuni di Cayston (osservati in più di 1 paziente su 10) sono sibilo, tosse, dolore faringolaringeo (dolore alla gola e all'organo della fonazione), congestione nasale (naso chiuso) dispnea (difficoltà di respirazione) e febbre. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Cayston, vedere il foglio illustrativo.

Cayston non deve essere somministrato a soggetti che sono ipersensibili (allergici) ad aztreonam o a uno qualsiasi degli altri ingredienti.

Perché è stato approvato Cayston?

Il CHMP ha concluso che vi è stato un bisogno medico non soddisfatto per nuovi antibiotici in pazienti con fibrosi cistica, poiché molti di questi pazienti hanno già sviluppato resistenza ad altri antibiotici una volta raggiunta l'età adulta e le infezioni polmonari da *P. aeruginosa* provocano gravi problemi di salute nei pazienti con fibrosi cistica. Il CHMP ha deciso che i benefici di Cayston sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Altre informazioni su Cayston

Il 21 settembre 2009 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Cayston, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Cayston consultare il sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Per maggiori informazioni sulla terapia con Cayston, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Cayston è disponibile sul sito web dell'Agenzia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 07-2012.