



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371435/2015
EMA/H/C/000125

Riassunto destinato al pubblico

Cystagon

mercaptamina

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Cystagon. 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 Cystagon.

Che cos'è Cystagon?

Cystagon è un medicinale contenente il principio attivo denominato mercaptamina (noto anche come cisteamina). È disponibile in capsule (50 mg e 150 mg).

Per che cosa si usa Cystagon?

Cystagon viene utilizzato per trattare i pazienti che soffrono di cistinosi nefropatica (renale). La cistinosi è una malattia rara ereditaria in cui quantità eccessive di cistina, un aminoacido naturalmente presente nell'organismo, si accumula nelle cellule, in particolare nei reni e negli occhi, danneggiandoli.

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Come si usa Cystagon?

La terapia con Cystagon deve avere inizio sotto il controllo di un medico esperto nel trattamento della cistinosi.

È opportuno misurare e utilizzare i livelli di cistina nei leucociti per adeguare il dosaggio del medicinale.

Per i bambini sino a 12 anni, la dose raccomandata è calcolata in base alla superficie corporea (calcolata partendo dall'altezza e dal peso del paziente), nella misura di 1,30 g per m² ripartito per 4 dosi. Per i pazienti di età superiore ai 12 anni e di peso superiore ai 50 kg, si raccomanda il dosaggio giornaliero di 2 g ripartito in quattro dosi. Le dosi iniziali dovrebbero corrispondere a 1/4 - 1/6 delle dosi finali previste. Le dosi iniziali devono essere incrementate gradualmente nel corso di 4-6 settimane. La dose



massima non dovrebbe mai eccedere 1,95 g per m² al giorno. Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

Come agisce Cystagon?

Il principio attivo di Cystagon, la mercaptamina, reagisce con la cistina per formare un altro aminoacido, denominato cisteina, e un composto, denominato sale di cisteina-cisteamina. L'organismo è in grado di rimuovere questo sale dalle cellule. La quantità di cistina negli organi viene quindi ridotta, limitando i danni.

Quali studi sono stati effettuati su Cystagon?

Cystagon è stato esaminato in tre studi principali che hanno riguardato 234 pazienti per un periodo di dodici anni. Gli studi hanno coinvolto bambini e nuovi pazienti ammessi più di recente, nei quali sono stati testati due differenti dosaggi. Dato che si tratta di una patologia molto grave, non è stato possibile per motivi etici comparare direttamente il Cystagon con placebo (un trattamento fittizio). La comparazione è stata condotta invece su un gruppo di pazienti trattati con un placebo, nell'ambito di un altro studio non correlato. Gli studi hanno esaminato le funzioni renali e i tassi di sopravvivenza e di crescita dei pazienti.

Quali benefici ha mostrato Cystagon nel corso degli studi?

I tre studi hanno mostrato che Cystagon ritarda i problemi renali e la necessità di ricorrere alla dialisi o al trapianto renale, se il trattamento viene iniziato in giovane età. Il medicinale migliora anche il tasso di sopravvivenza e di crescita nei bambini che lo assumono.

Qual è il rischio associato a Cystagon?

Gli effetti indesiderati più comuni di Cystagon (osservati in più di un paziente su 10) sono perdita d'appetito, vomito, nausea, diarrea, letargia (mancanza di energia) e piressia (febbre). Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Cystagon, vedere il foglio illustrativo.

Cystagon non deve essere somministrato a soggetti che sono ipersensibili (allergici) alla cisteamina o a uno qualsiasi degli altri ingredienti, o a un altro medicinale denominato penicillamina. Non deve essere somministrato alle donne che allattano o che sono in gravidanza (in particolare durante i primi tre mesi) a meno che non sia assolutamente necessario.

Perché è stato approvato Cystagon?

La cistinosi è una malattia rara e mortale, e Cystagon viene considerato un medicinale utile per questa malattia. Il CHMP ha deciso che i benefici di Cystagon sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Altre informazioni su Cystagon

Il 23 giugno 1997 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Cystagon, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Cystagon consultare il sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicines/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Per maggiori informazioni sulla terapia con Cystagon, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 07-2013.