

EMA/584568/2013
EMA/H/C/002465

Riassunto destinato al pubblico

Procysbi

mercaptamina

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Procysbi. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Procysbi.

Per informazioni pratiche sull'uso di Procysbi, i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Procysbi?

Procysbi è un medicinale che contiene il principio attivo mercaptamina (nota anche come cisteamina) e viene usato nei pazienti affetti da cistinosi nefropatica (dei reni). La cistinosi è una malattia ereditaria nella quale una quantità eccessiva di cistina, un aminoacido presente naturalmente nel corpo, si accumula nelle cellule, specialmente dei reni e degli occhi, danneggiandole.

Poiché il numero di pazienti affetti da cistinosi è basso, la malattia è considerata "rara" e Procysbi è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale usato nelle malattie rare) il 20 settembre 2010.

Procysbi è un "medicinale ibrido", cioè è simile a un "medicinale di riferimento" contenente lo stesso principio attivo, ma Procysbi è disponibile in una formulazione che consente un rilascio ritardato del principio attivo nel corpo. Il medicinale di riferimento per Procysbi è Cystagon.

Come si usa Procysbi?

Procysbi può essere ottenuto soltanto dietro prescrizione medica e il trattamento deve essere avviato sotto supervisione di un medico esperto nel trattamento della cistinosi.

Procysbi è disponibile sotto forma di capsule gastroresistenti (25 e 75 mg). Gastroresistente significa che il contenuto delle capsule passa attraverso lo stomaco senza essere scisso finché non raggiunge l'intestino. La dose giornaliera raccomandata viene calcolata in base alla superficie corporea, nella misura di 1,30 g per m² divisi in 2 dosi somministrate ogni 12 ore. I livelli di cistina nei globuli bianchi

(che sono misurati come nmol di emicistina per mg di proteina nei globuli bianchi), o in alternativa la concentrazione di mercaptamina nel sangue, devono essere monitorati e usati per regolare la dose, che non deve mai superare 1,95 g per m² al giorno. Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

Come agisce Procysbi?

Il principio attivo di Procysbi, mercaptamina, reagisce con la cistina formando un altro aminoacido, chiamato cisteina, e un composto chiamato sale di cisteina-cisteamina. Il corpo è in grado di rimuovere questo sale dalle cellule. La quantità di cistina negli organi viene pertanto ridotta, e questo limita il danno verso tali organi.

Quali benefici di Procysbi sono stati evidenziati negli studi?

Procysbi somministrato ogni 12 ore ha mostrato di essere almeno efficace quando Cystagon somministrato ogni 6 ore nel mantenere a livelli accettabili la quantità di cistina nei globuli bianchi (inferiore a 1 nmol di emicistina per mg di proteina nei globuli bianchi). In uno studio principale che ha coinvolto 43 pazienti con cistinosi nefropatica, non vi è stata alcuna differenza significativa tra i livelli medi di cistina nei globuli bianchi durante un trattamento di 3 settimane con i due medicinali. I livelli erano di 0,51 nmol/mg con Procysbi, rispetto a 0,44 nmol/mg con Cystagon.

Quali sono i rischi associati a Procysbi?

Gli effetti indesiderati più comuni con Procysbi (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono perdita di appetito, vomito, nausea (malessere), diarrea, letargia (mancanza di energia) e piressia (febbre). Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Procysbi, vedere il foglio illustrativo.

Procysbi non deve essere usato in individui ipersensibili (allergici) a una qualsiasi forma di mercaptamina a uno qualsiasi degli altri componenti, o alla penicillamina. Inoltre non deve essere usato nelle donne che allattano.

Perché Procysbi è approvato?

Il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che i benefici di Procysbi sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE. Il CHMP ha osservato che Procysbi ha mostrato di essere efficace almeno quanto Cystagon nel mantenere a un livello accettabile la quantità di cistina nei globuli bianchi. Il Comitato ha anche considerato che la formulazione gastroresistente, grazie alla sua somministrazione meno frequente, si prevede che aumenti la compliance al trattamento e la qualità della vita dei pazienti con cistinosi. Per quanto riguarda la sua sicurezza, il CHMP ha considerato che il profilo di sicurezza della mercaptamina è ben stabilito e che si prevede per Procysbi una sicurezza simile a quella del medicinale di riferimento.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Procysbi?

È stato elaborato un piano di gestione del rischio per garantire che Procysbi sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di Procysbi sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

Inoltre, l'azienda che commercializza Procysbi fornirà materiale formativo a tutti i medici potenziali prescrittori del medicinale, contenente importanti informazioni sulla sicurezza tra cui il rischio che il medicinale sia nocivo per il nascituro.

Altre informazioni su Procysbi

Il 06.09.2013 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Procysbi, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Procysbi consultare il sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Per maggiori informazioni sulla terapia con Procysbi, 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 Procysbi è disponibile sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 09-2013.