



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Cystadane

bevandenio betainas

Šis dokumentas yra Cystadane Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatytų jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Cystadane.

Praktinės informacijos apie Cystadane vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

Kas yra Cystadane ir kam jis vartojamas?

Cystadane yra vaistas, vartojamas homocistinurijai, paveldimai ligai, pasireiškiančiai tuo, kad organizme nevysiškai išskaidoma ir ima kauptis amino rūgštis homocisteinas, gydyti. Tai sukelia labai įvairių simptomų, kaip antai sutrikusį regėjimą, kaulų silpnumą ir kraujo apytakos sutrikimus.

Šis vaistas skiriamas su kitomis gydymo priemonėmis, kaip antai vitaminu B6 (piridoksinu), vitaminu B12 (kobalaminu), folatu ir specialia dieta.

Cystadane sudėtyje yra veikliosios medžiagos bevandenio betaino.

Kadangi homocistinurija sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta liga, ir 2001 m. liepos 9 d. Cystadane buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Kaip vartoti Cystadane?

Gydymą Cystadane turi prižiūrėti gydytojas, turintis homocistinurijos gydymo patirties.

Cystadane tiekiamas geriamųjų miltelių forma. Įprasta Cystadane paros dozė yra 100 mg viename kilogramui kūno svorio, padalinta į dvi lygias dalis. Dozę galima koreguoti priklausomai nuo atsako į gydymą (nustatomo pagal homocisteino koncentraciją plazmoje). Gydymo tikslas – išlaikyti mažesnę kaip 15 mikromolių arba kuo mažesnę bendrą homocisteino koncentraciją plazmoje. Paprastai tokia koncentracija pasiekama per mėnesį.



Cystadane tiekiamas kartu su 3 matavimo šaukšteliais, kuriais galima atmatuoti 100 mg, 150 mg ir 1 g miltelių. Prieš vartojimą juos reikia visiškai ištirpinti vandenyje, sultyse, piene, pieno mišinyje ar maiste.

Kaip veikia Cystadane?

Betainas yra natūrali medžiaga, išgaunama iš cukrinių runkelių. Sergant homocistinurija, betainas sumažina homocisteino koncentraciją plazmoje, paversdamas homocisteiną amino rūgštimi metioninu. Tai palengvina ligos simptomus.

Kokia Cystadane nauda nustatyta tyrimuose?

Įmonė pateikė informaciją apie Cystadane iš mokslinės literatūros. Ji apėmė 202 ataskaitas, kuriose buvo aprašytas Cystadane, vartojamo įvairiomis dozėmis, poveikis homocisteino koncentracijai plazmoje, gydant įvairaus amžiaus homocistinurija sergančius pacientus. Taip pat pateikta informacija apie 140 pacientų simptomus, dozę ir gydymo trukmę bei kitus jų vartotus vaistus. Dauguma pacientų kartu vartojo vitaminus B6 ar B12, arba folatą. Informacija, gauta iš šių tyrimų, buvo lyginama su paskelbtomis ataskaitomis, kuriose aprašyti rezultatai, gauti ištyrus šia liga sergančius negydytus pacientus.

Cystadane vartojusiems pacientams homocisteino koncentracija plazmoje sumažėjo labiau nei negydytiems pacientams. Tai buvo siejama su sušvelnėjusiais kardiovaskulinę (širdies ir kraujagyslių) sistemą veikiančiais simptomais ir pagerėjusiu vystymusi maždaug trims ketvirtadaliams Cystadane vartojusių pacientų. Šis vaistas buvo veiksmingas visų trijų rūšių homocistinurija sergantiems pacientams.

Kokia rizika siejama su Cystadane vartojimu?

Dažniausi šalutiniai Cystadane vartojimo reiškiniai (pastebėti daugiau kaip 1 pacientui iš 10) yra padidėjusi metionino koncentracija plazmoje. Cystadane vartojančių pacientų metionino koncentracija plazmoje turi būti stebima, kadangi ji gali sukelti cerebrinę edemą (smegenų pabrinkimą). Pacientai, kuriems pasireiškė cerebrinės edemos simptomai, pavyzdžiui, rytiniai galvos skausmai ir vėmimas arba regėjimo pakitimas, turi pasakyti apie tai gydytojui, kadangi tokiu atveju gydymą Cystadane gali tekti nutraukti.

Išsamų visų šalutinių reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Cystadane buvo patvirtintas?

Agentūros Žmonėms skirtų vaistų komitetas (CHMP) nusprendė, kad, nepaisant to, jog atlikta nedaug sisteminių Cystadane tyrimų, vaistas, vartojamas kaip papildomas gydymas kartu su jau taikomu homocistinurijos gydymu, pavyzdžiui, tuo pačiu metu gydant vitaminais ir taikant specialią dietą, yra naudingas. Komitetas pažymėjo, kad Cystadane vartojimas negali pakeisti kito gydymo.

Komitetas nusprendė, kad kaip papildoma homocistinurijos gydymo priemonė pagal nustatytą indikaciją vartojamo Cystadane teikiama nauda yra didesnė už nustatytą riziką. Komitetas rekomendavo suteikti Cystadane registracijos pažymėjimą.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Cystadane vartojimą?

Cystadane gaminanti bendrovė sudarys šį vaistą vartojančių pacientų registrą ir stebės jų saugumą. Ypač atidžiai bendrovė stebės cerebrinės edemos, kuri vaisto bandymo metu pastebėta nedideliame skaičiui pacientų, atvejus.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Cystadane vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kita informacija apie Cystadane

Europos Komisija 2007 m. vasario 15 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Cystadane registracijos pažymėjimą.

Išsamų Cystadane EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Daugiau informacijos apie gydymą Cystadane rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Cystadane santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2016-10.