



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371437/2015
EMA/H/C/000125

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Cystagon

merkaptamīns

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Cystagon*. Tajā ir paskaidrots, kā Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) novērtēja šīs zāles, pirms sniegt pozitīvu atzinumu par reģistrācijas apliecības piešķiršanu un ieteikumus par *Cystagon* lietošanu.

Kas ir Cystagon?

Cystagon ir zāles, kas satur aktīvo vielu merkaptamīnu (sauktu arī par cisteamīnu). Tās ir pieejamas kapsulās (50 un 150 mg).

Kāpēc lieto Cystagon?

Cystagon lieto pacientiem ar nefropātisku (nieru) cistinozi. *Cistinoze* ir reta iedzimta slimība, kad šūnās, jo īpaši nierēs un acīs tiek uzkrāts pārmērīgs daudzums cisteīna – organismā dabīgi pieejamas aminoskābes, radot šo orgānu bojājumus.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kā lieto Cystagon?

Cystagon terapiju drīkst uzsākt ārsts, kuram ir pieredze cistinozes ārstēšanā.

Lai pielāgotu devu, jāuzrauga un jāņem vērā cisteīna koncentrācija baltajās asinsšūnās.

Bērniem līdz 12 gadu vecumam ieteicamā dienas deva tiek noteikta, ņemot vērā ķermeņa virsmas laukumu (ko aprēķina, izmantojot augumu un masu), piemērojot 1,30 g uz m^2 , ko sadala četrās devās. Pacientiem, kas vecāki par 12 gadiem un kuru svars pārsniedz 50 kg, ieteicamā dienas deva ir 2 g, ko sadala četrām reizēm. Sākotnējai devai jābūt robežās no vienas ceturtdaļas līdz vienai sestdaļai no paredzamās pamatdevas. Sākotnējā deva četru līdz sešu nedēļu laikā pakāpeniski jāpalielina. Maksimālā dienas deva nedrīkst pārsniegt 1,95 g uz m^2 . Plašāka informācija pieejama zāļu lietošanas instrukcijā.



Kā Cystagon darbojas?

Cystagon aktīvā viela merkaptamīns reaģē ar cisteīnu, veidojot citu aminoskābi, ko dēvē par cisteīnu, un savienojumu, ko dēvē par cisteīna-cisteamīna sāli. Organisms spēj šo sāli izvadīt no šūnām. Tādējādi cistīna daudzums orgānos tiek samazināts un tiek ierobežoti šo orgānu bojājumi.

Kā noritēja Cystagon izpēte?

Cystagon ir pētītas trīs pamat pētījumos, iekļaujot 234 pacientus 12 gadu laikā. Šajos pētījumos tika ārstēti bērni un jaunuzņemti pacienti; tika pārbaudītas divas dažādas devas. Tā kā šī slimība ir ļoti smaga, tad ētisku apsvērumu dēļ nebija iespējams *Cystagon* tiešā veidā salīdzināt ar placebo (fiktīvu ārstēšanu). Tā vietā tika veikts salīdzinošs pētījums, iesaistot pacientu grupu, kam veikta fiktīva ārstēšana cita nesaistīta pētījuma ietvaros. Pētījumos tika vērtēta nieru funkcija, dzīvildzes un augšanas rādītāji.

Kādas bija Cystagon priekšrocības šajos pētījumos?

Trīs veiktajos pētījumos tika parādīts, ka *Cystagon* aizkavē nieru darbības traucējumus un dialīzes vai nieru transplantācijas nepieciešamību, ja ārstēšana tiek uzsākta agrīnā stadijā. Tās uzlabo arī dzīvildzi un augšanas rādītāju ārstētajiem bērniem.

Kāds risks pastāv, lietojot Cystagon?

Visbiežāk novērotās *Cystagon* blakusparādības (vairāk nekā 1 pacientam no 10) ir ēstgribas zudums, vemšana, slikta dūša, caureja, letarģija (enerģijas trūkums) un pireksija (paaugstināta temperatūra). Pilns visu *Cystagon* izraisīto blakusparādību saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

Cystagon nedrīkst lietot cilvēki ar paaugstinātu jutību (alerģiju) pret cisteamīnu vai kādu citu šo zāļu sastāvdaļu, vai pret citām zālēm, ko dēvē par penicilamīnu. Tās nedrīkst lietot sievietes, kas baro bērnu ar krūti vai kam ir iestājusies grūtniecība (jo īpaši pirmajos trīs grūtniecības mēnešos), izņemot gadījumus, kad tas ir skaidri nepieciešams.

Kāpēc Cystagon tika apstiprinātas?

Cistinoze ir reta, nāvējoša slimība, un šīs slimības gadījumā *Cystagon* tiek uzskatītas par noderīgām zālēm. CHMP nolēma, ka pacientu ieguvums, lietojot *Cystagon*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību.

Cita informācija par Cystagon

Eiropas Komisija 1997. gada 23. jūnijā izsniedza *Cystagon* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *Cystagon* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Plašāka informācija par ārstēšanu ar *Cystagon* pieejama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai, sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 07.2013.