

EMA/CHMP/371439/2015
EMA/H/C/000125

EPAR-samenvatting voor het publiek

Cystagon

mercaptamine

Dit is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Cystagon. Het geeft uitleg over de aanpak van het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) bij de beoordeling van het geneesmiddel, een proces dat tot doel heeft een positief advies voor vergunningverlening en aanbevelingen voor de gebruiksvoorwaarden van Cystagon vast te stellen.

Wat is Cystagon?

Cystagon is een geneesmiddel dat de werkzame stof mercaptamine bevat (ook bekend als cysteamine). Het is verkrijgbaar in de vorm van capsules (50 en 150 mg).

Wanneer wordt Cystagon voorgeschreven?

Cystagon wordt gebruikt voor patiënten met de nierziekte nefropatische cystinose. Cystinose is een zeldzame erfelijke aandoening waarbij cystine (een van nature in het lichaam voorkomend aminozuur) zich in lichaamscellen, met name in de nieren en de ogen, buitensporig opstapelt waardoor die cellen worden beschadigd.

Dit middel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar.

Hoe wordt Cystagon gebruikt?

De behandeling met Cystagon moet worden ingeleid door een arts die ervaring heeft met de behandeling van cystinose.

De cystine-spiegel in de witte bloedcellen moet in het oog worden gehouden en als basis dienen voor eventuele dosisaanpassingen.

Voor kinderen tot twaalf jaar is de aanbevolen dosering 1,30 g per m² lichaamsoppervlak (berekend aan de hand van het gewicht en de lengte van de patiënt) per dag, verdeeld over vier doses. Voor patiënten ouder dan twaalf en zwaarder dan 50 kg is de aanbevolen dosering 2 g per dag, verdeeld

over vier doses. De aanvangsdoses moeten een vierde tot een zesde van de uiteindelijke, verwachte doses bedragen. De aanvangsdosis moet in vier tot zes weken geleidelijk aan worden verhoogd. De maximumdosis mag nooit meer dan 1,95 g/m² per dag bedragen. Zie de bijsluiter voor meer informatie.

Hoe werkt Cystagon?

Mercaptamine, de werkzame stof in Cystagon, reageert met cystine en vormt zo cysteïne, een ander aminozuur, en een verbinding die cysteïne-cysteaminezout wordt genoemd. Het lichaam kan dit zout uit de cellen verwijderen, waardoor de hoeveelheid cystine in de organen daalt en de schade aan die organen wordt beperkt.

Hoe is Cystagon onderzocht?

Cystagon is gedurende een periode van twaalf jaar onderzocht in drie grote studies onder 234 patiënten. Aan deze onderzoeken deden kinderen en nieuwe patiënten mee, bij wie twee verschillende doseringen werden getest. Aangezien het een zeer ernstige ziekte betreft, was het om ethische redenen niet mogelijk om Cystagon rechtstreeks met placebo (een schijnbehandeling) te vergelijken. In plaats daarvan werd de vergelijking gemaakt met een groep patiënten die met placebo waren behandeld als onderdeel van een andere, niet-gerelateerde studie. In de studies werden de nierfunctie, het overlevingspercentage en de groei van de patiënten onderzocht.

Welke voordelen bleek Cystagon tijdens de studies te hebben?

Uit de drie studies is gebleken dat Cystagon het ontstaan van nierproblemen en dus ook de noodzaak van dialyse of niertransplantatie vertraagt wanneer op jonge leeftijd met de behandeling wordt begonnen. Het middel verbetert tevens de overlevingskansen en de groei bij de behandelde kinderen.

Welke risico's houdt het gebruik van Cystagon in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Cystagon (waargenomen bij meer dan 1 op de 10 patiënten) zijn gebrek aan eetlust, braken, misselijkheid, diarree, lusteloosheid en koorts. Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Cystagon.

Cystagon mag niet worden gebruikt bij mensen die overgevoelig (allergisch) zijn voor cysteamine, voor enig ander bestanddeel van het middel of voor penicillamine (een ander geneesmiddel). Het mag evenmin worden gebruikt bij vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven (vooral tijdens de eerste drie maanden), tenzij dit absoluut noodzakelijk is.

Waarom is Cystagon goedgekeurd?

Cystinose is een zeldzame, dodelijke ziekte en Cystagon wordt beschouwd als een nuttig geneesmiddel voor deze ziekte. Het CHMP heeft geconcludeerd dat de voordelen van Cystagon groter zijn dan de risico's, en heeft geadviseerd een vergunning te verlenen voor het in de handel brengen van Cystagon.

Overige informatie over Cystagon:

De Europese Commissie heeft op 23 juni 1997 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Cystagon verleend.

Het volledige EPAR voor Cystagon is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Zie de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Cystagon.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 07-2013.