

EMA/405339/2013
EMA/H/C/002465

EPAR-samenvatting voor het publiek

Procysbi mercaptamine

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Procysbi. Het geeft uitleg over hoe het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Procysbi.

Voor praktische informatie over het gebruik van Procysbi dienen patiënten de bijsluiter te lezen of contact op te nemen met hun arts of apotheker.

Wat is Procysbi en wanneer wordt het voorgeschreven?

Procysbi is een geneesmiddel dat de werkzame stof mercaptamine (ook bekend als cysteamine) bevat. Het wordt gebruikt bij patiënten met nefropathische (nier)cystinose. Cystinose is een erfelijke ziekte waarbij zich binnen cellen, in het bijzonder in de nieren en de ogen, overmatige hoeveelheden van het van nature in het lichaam voorkomende aminozuur cystine ophopen, wat de cellen beschadigt.

Aangezien het aantal patiënten met cystinose klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Procysbi op 20 september 2010 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten).

Procysbi is een 'hybride geneesmiddel'. Dit betekent dat het gelijkwaardig is aan een 'referentiegeneesmiddel' dat dezelfde werkzame stof bevat, maar Procysbi is verkrijgbaar in een formulering die vertraagde afgifte van de werkzame stof in het lichaam mogelijk maakt. Het referentiegeneesmiddel voor Procysbi is Cystagon.

Hoe wordt Procysbi gebruikt?

Procysbi is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart en gecontroleerd onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van cystinose.

Het middel is verkrijgbaar in de vorm van maagsapresistente capsules (25 en 75 mg). Maagsapresistent betekent dat de capsules de maag intact passeren en pas uiteenvallen wanneer zij de darmen bereiken. De aanbevolen dagelijkse dosis wordt berekend op basis van het lichaamsoppervlak en is gelijk aan 1,30 g per m² verdeeld over 2 doses die om de 12 uur worden toegediend. Het cystinegehalte in witte bloedcellen (dat wordt gemeten als nmol hemicystine per mg witte-bloedceleiwit), of anders de mercaptamineconcentratie in het bloed, moet worden gecontroleerd en gebruikt om de dosis aan te passen, maar deze mag nooit meer zijn dan 1,95 g per m² per dag. Zie de bijsluiter voor meer informatie.

Hoe werkt Procysbi?

De werkzame stof in Procysbi, mercaptamine, reageert met cystine om een ander aminozuur, cysteïne, en een verbinding, cysteïne-cysteaminezout genoemd, te vormen. Het lichaam kan dit zout uit de cellen verwijderen. De hoeveelheid cystine in de organen wordt hierdoor verkleind, en dit beperkt de schade aan deze organen.

Welke voordelen bleek Procysbi in onderzoeken te hebben?

Wanneer Procysbi elke 12 uur werd toegediend, bleek het ten minste even effectief te zijn in het op aanvaarbare niveaus handhaven van het cystinegehalte in de witte bloedcellen (minder dan 1 nmol hemicystine per mg witte-bloedceleiwit) als Cystagon, wanneer dit elke 6 uur werd toegediend. In een hoofdonderzoek waaraan 43 patiënten met nefropathische cystinose deelnamen, was er geen betekenisvol verschil tussen de gemiddelde cystinegehalten in witte bloedcellen gedurende een behandeling van 3 weken bij de twee geneesmiddelen. De gehalten waren 0,51 nmol/mg voor Procysbi, vergeleken met 0,44 nmol/mg voor Cystagon.

Welke risico's houdt het gebruik van Procysbi in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Procysbi (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn verlies van eetlust, braken, nausea (misselijkheid), diarree, lethargie (gebrek aan energie) en pyrexie (koorts). Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle gerapporteerde bijwerkingen van Procysbi.

Procysbi mag niet worden gebruikt bij mensen die overgevoelig (allergisch) zijn voor mercaptamine of voor enig ander bestanddeel van het middel, of voor penicillamine. Het mag ook niet worden gebruikt bij vrouwen die borstvoeding geven.

Waarom is Procysbi goedgekeurd?

Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Procysbi groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd Procysbi voor gebruik in de EU goed te keuren. Het CHMP merkte op dat Procysbi ten minste even effectief bleek te zijn als Cystagon in het op aanvaarbare niveaus handhaven van het cystinegehalte in de witte bloedcellen. Het Comité was ook van mening dat de maagsapresistente formulering als gevolg van haar minder frequente toediening naar verwachting zal leiden tot een betere naleving van de behandeling en tot een betere kwaliteit van leven bij patiënten met cystinose. Wat betreft de veiligheid van Procysbi, was het CHMP van oordeel dat het veiligheidsprofiel van mercaptamine goed is bewezen en dat de veiligheid van Procysbi naar verwachting vergelijkbaar zal zijn met die van het referentiegeneesmiddel.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Procysbi te waarborgen?

Om een zo veilig mogelijk gebruik van Procysbi te waarborgen, is een risicobeheerplan opgesteld. Op basis van dit plan is in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter van Procysbi veiligheidsinformatie opgenomen, onder andere over de gepaste voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen.

Bovendien zal de firma die Procysbi in de handel brengt, alle artsen die het middel naar verwachting gaan voorschrijven, voorzien van voorlichtingsmateriaal met belangrijke informatie over de veiligheid van het geneesmiddel, waaronder het risico dat het geneesmiddel schadelijk kan zijn voor het ongeboren kind.

Overige informatie over Procysbi:

De Europese Commissie heeft op 06.09.2013. een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Procysbi verleend.

Het volledige EPAR voor Procysbi is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Zie de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Procysbi.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Procysbi is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 09-2013.