

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Cystadane

bezwodna betaina

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Cystadane. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Cystadane.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Cystadane należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest produkt Cystadane i w jakim celu się go stosuje?

Cystadane jest lekiem stosowanym w leczeniu homocystynurii, choroby dziedzicznej, w której aminokwas homocysteina nie ulega rozpadowi, przez co odkłada się w organizmie. Powoduje to szereg objawów, w tym pogorszenie widzenia, osłabienie kości i problemy krążeniowe.

Produkt stosuje się z innymi metodami leczenia, takimi jak witamina B6 (pirydoksyna), witamina B12 (kobalamina), foliany i specjalna dieta.

Cystadane zawiera substancję czynną bezwodna betaina.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z homocystynurią choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 9 lipca 2001 r. produkt Cystadane uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Jak stosować produkt Cystadane?

Leczenie produktem Cystadane powinien nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu pacjentów z homocystynurią.

Produkt Cystadane jest dostępny w postaci proszku do podawania doustnego. Standardowa dawka produktu Cystadane wynosi 100 mg na kilogram masy ciała na dobę, podzielone na dwie równe dawki. Dawkę można dostosować zależnie od odpowiedzi na leczenie (monitorowanej pomiarem poziomu



homocysteiny we krwi). Celem leczenia jest utrzymanie poziomu homocysteiny we krwi poniżej 15 mikromoli lub na jak najniższym poziomie. Taki efekt zazwyczaj osiąga się w ciągu jednego miesiąca.

Lek Cystadane jest dostarczany wraz z 3 łyżeczkami, umożliwiającymi odmierzenie 100 mg, 150 mg i 1 g proszku. Proszek ten należy dokładnie rozpuścić w wodzie, soku, mleku, preparacie żywieniowym lub innym pokarmie bezpośrednio przed jego spożyciem.

Jak działa produkt Cystadane?

Betaina jest naturalną substancją, którą ekstrahuje się z buraka cukrowego. W homocystynurii betaina redukuje poziom homocysteiny we krwi, przekształcając homocysteinę w aminokwas metioninę. Pomaga to zmniejszać objawy choroby.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Cystadane zaobserwowano w badaniach?

Firma przedstawiła informacje z literatury naukowej na temat produktu Cystadane. Obejmowały one 202 doniesienia opisujące działanie produktu Cystadane, podawanego w różnych dawkach, na poziom homocysteiny u pacjentów z homocystynurią w różnym wieku. W przypadku 140 pacjentów przedstawiono także informacje na temat występujących u nich objawów, stosowanych dawek i czasu leczenia, a także innych przyjmowanych leków. Większość pacjentów przyjmowała także witaminy B6 lub B12, bądź foliany. Informacje z tych badań porównano z opublikowanymi doniesieniami opisującymi przebieg choroby u pacjentów nieleczonych.

Wydaje się, że u pacjentów przyjmujących produkt Cystadane występuje poziom homocysteiny obniżający się bardziej niż u pacjentów nieleczonych. Jest to związane z obserwowaną poprawą objawów dotyczących układu krążenia (serca i naczyń krwionośnych) oraz zmniejszeniu problemów z rozwojem układu nerwowego u około trzech czwartych pacjentów przyjmujących produkt Cystadane. Lek był skuteczny u pacjentów ze wszystkimi trzema typami homocystynurii.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Cystadane?

Najczęstsze działanie niepożądane związane ze stosowaniem produktu Cystadane (obserwowane u więcej niż 1 pacjenta na 10) to podwyższony poziom metioniny we krwi. U pacjentów przyjmujących produkt Cystadane należy monitorować poziom metioniny, gdyż jego nadmierne wahania mogą doprowadzić do obrzęku mózgu. Pacjenci z objawami obrzęku mózgu, takimi jak poranne bóle głowy z wymiotami lub zaburzenia widzenia, powinni powiedzieć o tym swojemu lekarzowi, gdyż może być konieczne przerwanie leczenia produktem Cystadane.

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Cystadane?

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji zdecydował, że choć przeprowadzono niewiele systematycznych badań dotyczących produktu Cystadane, lek ten jest przydatny po dołączeniu do istniejących metod leczenia homocystynurii, takich jak suplementacja witaminowa i stosowanie specjalnej diety. Komitet zwrócił uwagę na to, że produkt Cystadane nie zastępuje innych metod leczenia.

Komitet uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Cystadane przewyższają ryzyko w leczeniu uzupełniającym homocystynurii, gdy jest on stosowany zgodnie ze wskazaniem. Komitet zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie produktu Cystadane do obrotu.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Cystadane?

Firma wytwarzająca produkt Cystadane będzie prowadziła rejestr pacjentów przyjmujących lek w celu monitorowania jego bezpieczeństwa. W szczególności firma będzie monitorowała przypadki obrzęku mózgu, jaki obserwowano u niewielkiej liczby pacjentów podczas badań tego leku.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Cystadane w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Inne informacje dotyczące produktu Cystadane

W dniu 15 lutego 2007 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie leku Cystadane do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Cystadane znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Cystadane należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Cystadane znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Data ostatniej aktualizacji: 10.2016.