



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371440/2015
EMA/H/C/000125

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Cystagon

merkaptamina

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Cystagon. Wyjaśnia, jak Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) ocenił lek w celu ustalenia opinii, na podstawie której przyznano pozwolenie na dopuszczenie produktu Cystagon do obrotu, oraz zaleceń w sprawie warunków stosowania leku.

Co to jest lek Cystagon?

Cystagon to lek, który zawiera substancję czynną merkaptaminę (znaną również jako cysteamina). Lek jest dostępny w postaci kapsułek (50 i 150 mg).

W jakim celu stosuje się lek Cystagon?

Cystagon stosuje się do leczenia pacjentów, u których występuje cystynoza nefropatyczna (nerkowa). Cystynoza jest rzadką chorobą dziedziczną powodującą gromadzenie się cystyny (aminokwas naturalnie występujący w organizmie) w komórkach ciała, w szczególności nerek i oczu, co prowadzi do ich uszkodzenia.

Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.

Jak stosować lek Cystagon?

Leczenie produktem Cystagon powinien rozpocząć lekarz posiadający doświadczenie w leczeniu cystynozy.

Należy monitorować poziom cystyny w krwinkach białych i odpowiednio korygować dawkę leku.

U dzieci do 12 lat, zalecaną dawkę dobową oblicza się w zależności od powierzchni ciała (określana na podstawie wzrostu i masy ciała pacjenta), i powinna wynosić 1,30 g na m² podzielone na 4 dawki. U pacjentów w wieku powyżej 12. roku życia i powyżej 50 kg masy ciała zalecana dawka wynosi 2 g podzielone na 4 dawki. Dawki początkowe powinny wynosić od 1/4 do 1/6 przewidywanej dawki



końcowej. Dawkę początkową należy stopniowo zwiększać przez 4 do 6 tygodni. Maksymalna dawka w żadnym wypadku nie może przewyższać 1,95 g na m² na dobę. Więcej informacji znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Jak działa lek Cystagon?

Substancja czynna leku Cystagon, merkaptamina, reaguje z cystyną, tworząc inny aminokwas zwany cysteiną oraz związek zwany solą cysteinowo-cysteaminową. Ciało jest w stanie usuwać tę sól z komórek. W ten sposób ilość cystyny w narządach zmniejsza się, co ogranicza ich uszkodzenie.

Jak badano lek Cystagon?

Lek Cystagon oceniano w trzech badaniach głównych z udziałem 234 pacjentów przez okres 12 lat. Badania te obejmowały dzieci i nowych pacjentów, u których oceniano dwie różne dawki. Ponieważ choroba ta jest bardzo poważna, ze względów etycznych nie było możliwe porównanie leku Cystagon bezpośrednio z placebo. Zamiast tego dokonano porównania z grupą pacjentów, którzy otrzymywali placebo w ramach innego, niepowiązanego badania. W badaniach oceniano czynność nerek, czas przeżycia oraz tempo wzrostu pacjentów.

Jakie korzyści ze stosowania leku Cystagon zaobserwowano w badaniach?

W trzech wymienionych badaniach wykazano, że lek Cystagon opóźnia wystąpienie problemów z nerkami oraz konieczność stosowania dializ lub przeszczepu nerek, gdy leczenie rozpoczyna się we wczesnym wieku. Lek poprawia także czas przeżycia i tempo wzrostu leczonych dzieci.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem leku Cystagon?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Cystagon (występujące u więcej niż 1 na 10 pacjentów) to: utrata apetytu, wymioty, nudności (mdłości), biegunka, letarg (brak energii) i gorączka. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Cystagon znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Cystagon nie wolno stosować u osób, u których występuje nadwrażliwość (alergia) na cysteaminę lub na którykolwiek składnik produktu lub na inny lek zwany penicylaminą. Leku nie wolno również stosować u kobiet karmiących piersią ani u kobiet w ciąży (zwłaszcza podczas trzech pierwszych miesięcy ciąży), chyba, że jest to wyraźnie konieczne.

Na jakiej podstawie zatwierdzono lek Cystagon?

Cystynoza jest rzadką, śmiertelną chorobą, a lek Cystagon uważa się za przydatny w jej leczeniu. CHMP uznał, że korzyści ze stosowania leku Cystagon przewyższają ryzyko, i zalecił przyznanie pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu.

Inne informacje dotyczące leku Cystagon

W dniu 23 czerwca 1997 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie leku Cystagon do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące leku Cystagon 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 Cystagon należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 07-2013.