

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Cystadane

betaină anhidră

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Cystadane. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Cystadane.

Pentru informații practice privind utilizarea Cystadane, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

Ce este Cystadane și pentru ce se utilizează?

Cystadane este un medicament folosit pentru tratamentul homocistinuriei, o boală ereditară în care aminoacidul homocisteină nu se poate descompune, acumulându-se astfel în organism. Aceasta cauzează o mare varietate de simptome, printre care tulburări de vedere, fragilitate a oaselor și probleme circulatorii.

Se utilizează împreună cu alte tratamente, precum vitamina B6 (piridoxina), vitamina B12 (cobalamina), folatul și un regim alimentar special.

Cystadane conține substanța activă betaină anhidră.

Din cauza numărului mic de pacienți cu homocistinurie, boala este considerată „rară”, iar Cystadane a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 9 iulie 2001.

Cum se utilizează Cystadane?

Tratamentul cu Cystadane trebuie supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul pacienților cu homocistinurie.

Cystadane este disponibil sub formă de pulbere cu administrare orală. Doza standard de Cystadane este de 100 mg pe kilogram de greutate corporală în fiecare zi, administrată în două doze egale. Doza se poate ajusta în funcție de răspunsul la tratament (monitorizat prin măsurarea concentrației de

homocisteină din sânge). Scopul tratamentului este menținerea concentrației în sânge a homocisteinei sub 15 micromoli sau cât mai mic posibil. Acest lucru se întâmplă în general după o lună de tratament.

Cystadane este distribuit împreună cu trei linguri de măsurare pentru 100 mg, 150 mg și 1 g de pulbere. Trebuie dizolvat complet în apă, suc, lapte, formulă de lapte praf sau mâncare imediat înainte de administrare.

Cum acționează Cystadane?

Betaina este o substanță naturală extrasă din trestie de zahăr. În homocistinurie, betaina reduce concentrațiile de homocisteină din sânge transformând homocisteina în aminoacidul metionină. Acest lucru ajută la atenuarea simptomelor afecțiunii.

Ce beneficii a prezentat Cystadane pe parcursul studiilor?

Compania a prezentat informații despre Cystadane din literatura științifică. Au fost incluse 202 rapoarte care descriu efectele Cystadane administrat în doze diferite asupra concentrațiilor de homocisteină, la pacienți de diferite vârste cu homocistinurie. Pentru 140 de pacienți au fost puse la dispoziție și informații despre simptome, doza și durata tratamentului și despre alte medicamente administrate. Cei mai mulți pacienți au primit, de asemenea, vitamina B6, B12 sau folat. Informațiile din aceste studii au fost comparate cu rapoarte publicate despre evoluția pacienților netratați care au această boală.

Pacienții care au luat Cystadane au părut să prezinte o reducere mai mare a concentrațiilor de homocisteină, comparativ cu pacienții netratați. Acest lucru a fost asociat cu o îmbunătățire a simptomatologiei cardiovasculare (inimă și vase de sânge), precum și cu o îmbunătățire a problemelor de dezvoltare la aproximativ trei sferturi din pacienții care au luat Cystadane. Medicamentul a fost eficient în toate cele trei tipuri de homocistinurie.

Care sunt riscurile asociate cu Cystadane?

Cea mai frecventă reacție adversă asociată cu Cystadane (observată la mai mult de 1 pacient din 10) a fost creșterea concentrației de metionină din sânge. Concentrația de metionină trebuie monitorizată la pacienții care primesc Cystadane, deoarece poate duce la edem cerebral (edem la creier). Pacienții care prezintă simptome de edem cerebral, cum sunt dureri de cap matinale asociate cu vărsături sau tulburări de vedere, trebuie să se adreseze medicului, deoarece poate fi nevoie să se întrerupă tratamentul cu Cystadane.

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor, citiți prospectul.

De ce a fost aprobat Cystadane?

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a hotărât că, deși există puține studii sistematice pentru Cystadane, medicamentul este folositor în homocistinurie, atunci când este adăugat la alte tratamente deja existente, cum sunt suplimentul vitaminic și un regim alimentar special. Comitetul a luat notă de faptul că Cystadane nu este un înlocuitor al altor tratamente.

Comitetul a hotărât că beneficiile Cystadane sunt mai mari decât riscurile asociate în tratamentul adjuvant al homocistinuriei, atunci când este folosit conform indicațiilor. Comitetul a recomandat acordarea autorizației de punere pe piață pentru Cystadane.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Cystadane?

Compania care produce Cystadane va realiza un registru al pacienților care primesc acest medicament pentru a-i monitoriza siguranța. Compania va monitoriza în special cazurile de edem cerebral, semnalate la un număr mic de pacienți în perioada de testare a medicamentului.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Cystadane, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Alte informații despre Cystadane

Comisia Europeană a acordat o autorizație de punere pe piață pentru Cystadane, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 15 februarie 2007.

EPAR-ul complet pentru Cystadane este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Cystadane, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Cystadane este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 10-2016.