

EMA/584584/2013
EMA/H/C/002465

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Procysbi

merkaptamín

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Procysbi. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho užívania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Procysbi.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Procysbi, nájdú ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je liek Procysbi a na čo sa používa?

Procysbi je liek, ktorý obsahuje účinnú látku merkaptamín (známy aj ako cysteamín). Liek sa používa v prípade pacientov s nefropatickou (obličkovou) cystinózou. Cystinóza je dedičná choroba, pri ktorej sa v bunkách, najmä v bunkách obličiek a očí, ukladá nadmerné množstvo cystínu, aminokyseliny, ktorá sa prirodzene vyskytuje v tele, a poškodzuje ich.

Keďže počet pacientov s cystinózou je nízky, choroba sa považuje za zriedkavú a liek Procysbi bol 20. septembra 2010 označený ako liek na ojedinelé ochorenia.

Procysbi je hybridný liek. To znamená, že je podobný ako referenčný liek obsahujúci rovnakú účinnú látku, ale liek Procysbi je dostupný vo forme, ktorá umožňuje postupné uvoľňovanie účinnej látky v tele. Referenčným liekom pre liek Procysbi je Cystagon.

Ako sa liek Procysbi užíva?

Liek Procysbi je len na lekárske predpis a liečba sa má začať pod dohľadom lekára, ktorý má skúsenosti s liečbou cystinózy.

Liek Procysbi je dostupný vo forme gastrorezistentných kapsúl (25 a 75 mg). Gastrorezistentný znamená, že obsah kapsúl prechádza cez žalúdok bez toho, aby sa rozložil, kým sa nedostane do tenkého čreva. Odporúčaná denná dávka sa vypočíta na základe povrchu tela, teda 1,30 g na m²

rozdelená na dve dávky podávané každých 12 hodín. Hladina cystínu v bielych krvinkách (ktorá sa meria ako nmól hemicystínu na mg proteínu v bielych krvinkách) alebo koncentrácia merkaptamínu v krvi sa musí monitorovať a podľa toho sa nastaví dávka. Dávka nemá nikdy prekročiť 1,95 g na m² denne. Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Akým spôsobom liek Procysbi účinkuje?

Účinná látka v lieku Procysbi, merkaptamín, reaguje s cystínom, pričom vytvára ďalšiu aminokyselinu nazývanú cysteín a zlúčeninu nazývanú cysteín-cysteaminová soľ. Telo je schopné odstrániť túto soľ z buniek. Množstvo cystínu v orgánoch sa preto zníži, čím sa obmedzí poškodenie týchto orgánov.

Aké prínosy lieku Procysbi boli preukázané v štúdiách?

Preukázalo sa, že liek Procysbi podávaný každých 12 hodín je prinajmenšom taký účinný pri udržaní množstva cystínu v bielych krvinkách na prijateľnej úrovni (menej ako 1 nmól hemicystínu na mg proteínu v bielych krvinkách) ako liek Cystagon podávaný každých 6 hodín. V jednej hlavnej štúdii, ktorej sa zúčastnilo 43 pacientov s nefropatickou cystinózou, sa nepozoroval významný rozdiel medzi týmito dvomi liekmi, pokiaľ ide o priemernú hladinu cystínu v bielych krvinkách počas 3-týždňovej liečby. Hladina cystínu pri použití lieku Procysbi bola 0,51 nmól/mg v porovnaní s 0,44 nmól/mg pri použití lieku Cystagon.

Aké riziká sa spájajú s užívaním lieku Procysbi?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Procysbi (môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) patrí strata chuti do jedla, vracanie, nauzea (pocit nevoľnosti), hnačka, letargia (nedostatok energie) a pyrexia (horúčka). Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Procysbi sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Liek Procysbi nesmú užívať osoby, ktoré sú precitlivené (alergické) na akúkoľvek formu merkaptamínu alebo na iné zložky lieku, alebo na penicilín. Nesmú ho užívať ani dojčiace ženy.

Prečo bol liek Procysbi povolený?

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry rozhodol, že prínosy lieku Procysbi sú väčšie ako riziká spojené s jeho užívaním a odporučil udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ. Výbor CHMP poznamenal, že sa preukázalo, že liek Procysbi je pri udržaní množstva cystínu v bielych krvinkách na prijateľnej úrovni prinajmenšom taký účinný ako liek Cystagon. Výbor tiež usúdil, že vzhľadom na menej časté podávanie lieku sa predpokladá, že gastrorezistentná zmes zvýši mieru dodržiavania liečby a kvalitu života pacientov s cystinózou. Pokiaľ ide o bezpečnosť, výbor CHMP usúdil, že profil bezpečnosti merkaptamínu je náležité stanovený a predpokladá sa, že bezpečnosť lieku Procysbi bude podobná ako bezpečnosť referenčného lieku.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Procysbi?

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania lieku Procysbi bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté informácie o bezpečnosti lieku Procysbi vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotníci pracovníci a pacienti dodržiavať.

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Procysbi na trh, poskytne tiež všetkým lekárom, ktorí budú predpisovať tento liek, vzdelávací materiál obsahujúci dôležité bezpečnostné informácie vrátane rizika, že liek môže byť škodlivý pre nenarodené dieťa.

Ďalšie informácie o lieku Procysbi

Dňa 06.09.2013 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Procysbi na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Procysbi sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Procysbi, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára alebo lekárnika.

Súhrn stanoviska výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Procysbi sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 09-2013