

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

Povzetek EPAR za javnost

Cystadane

brezvodni betain

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Cystadane. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Cystadane naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Cystadane in za kaj se uporablja?

Zdravilo Cystadane je namenjeno za zdravljenje homocistinurije, tj. dedne bolezni, pri kateri se aminokislina homocistein, ne more razgraditi in se zato kopiči v telesu. To povzroča številne simptome, vključno z okvaro vida, krhkimi kostmi in težavami z obtočili.

Uporablja se kot dodatek drugim zdravilom, na primer vitaminu B6 (piridoksin), vitaminu B12 (kobalamin), folatu in posebni dieti.

Zdravilo Cystadane vsebuje zdravilno učinkovino brezvodni betain.

Ker je bolnikov s homocistinurijo malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Cystadane 9. julija 2001 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Kako se zdravilo Cystadane uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Cystadane mora nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem bolnikov s homocistinurijo.

Zdravilo Cystadane je na voljo v obliki praška, ki se jemljejo peroralno. Običajni odmerek zdravila Cystadane je 100 mg na kilogram telesne mase vsak dan, razdeljen v dva ločena odmerka. Odmerek je mogoče prilagoditi glede na odziv bolnika na zdravljenje (kar se nadzoruje z merjenjem ravni homocisteina v krvi). Namen zdravljenja je vzdrževanje ravni homocisteina pod 15 mikromolov ali na čim nižji ravni. To stanje je običajno doseženo v enem mesecu.



Zdravilo Cystadane se dobavlja s tremi merilnimi žličkami za odmerjanje 100 mg, 150 mg in 1 g praška. Prašek je treba neposredno pred zaužitjem popolnoma raztopiti v vodi, soku, mleku, otroški formuli ali hrani.

Kako zdravilo Cystadane deluje?

Betain je naravna snov, ki se pridobiva iz sladkorne pese. Pri homocistinuriji betain znižuje raven homocisteina v krvi tako, da homocistein ponovno pretvarja v aminokislino metionin. To prispeva k izboljšanju simptomov bolezni.

Kakšne koristi je zdravilo Cystadane izkazalo v študijah?

Družba je predložila informacije o zdravilu Cystadane iz znanstvene literature. Te so obsegale 202 poročili, ki opisujejo učinke zdravila Cystadane, uporabljenega v različnih odmerkih, na raven homocisteina pri bolnikih različnih starosti, ki imajo homocistinurijo. Za 140 bolnikov so bile podane tudi informacije o njihovih simptomih, odmerkih in trajanju zdravljenja ter drugih uporabljenih zdravilih. Večina bolnikov je jemala tudi vitamina B6 ali B12 ali folat. Podatke iz teh študij so primerjali z objavljenimi poročili, ki opisujejo izid pri nezdravljenih bolnikih s to boleznijo.

Pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Cystadane, je očitno prišlo do večjega znižanja ravni homocisteina kot pri nezdravljenih bolnikih. To je bilo povezano z izboljšanjem simptomov v zvezi s kardiovaskularnim sistemom (srcem in ožiljem) ter izboljšanjem razvojnih težav pri približno treh četrtinah bolnikov, ki so prejeli zdravilo Cystadane. Zdravilo je bilo učinkovito pri bolnikih z vsemi tremi vrstami homocistinurije.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Cystadane?

Najpogostejši neželeni učinek zdravila Cystadane (opažen pri več kot 1 bolniku od 10) so povišane ravni metionina v krvi. Pri bolnikih, ki jemljejo zdravilo Cystadane, je treba nadzorovati raven metionina, saj lahko povzroči možganski edem (otekanje v možganih). Bolniki s simptomi možganskega edema, kot so jutranji glavobol z bruhanjem, ali spremembami vida, naj se posvetujejo z zdravnikom, saj bo mogoče treba zdravljenje z zdravilom Cystadane prekiniti.

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev glejte navodilo za uporabo.

Zakaj je bilo zdravilo Cystadane odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji je navkljub maloštevilnim sistematičnim študijam zdravila Cystadane sklenil, da je zdravilo koristno kot dodatek k obstoječim načinom zdravljenja homocistinurije, kot so dodajanje vitaminov in posebna dieta. Ugotovil je, da zdravilo Cystadane ne more nadomestiti drugih načinov zdravljenja.

Zato je sklenil, da so koristi zdravila Cystadane, če se uporablja v skladu z indikacijo, večje od z njim povezanih tveganj pri dopolnilnem zdravljenju homocistinurije. Priporočil je, da se zanj izda dovoljenje za promet.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Cystadane?

Družba, ki izdeluje zdravilo Cystadane, bo vzpostavila register bolnikov, ki jemljejo zdravilo, da bi tako nadzorovala njegovo varnost. Zlasti bo spremljala primere možganskega edema, ki so ga pri majhnem številu bolnikov opazili med testiranjem zdravila.

Priporočila in varnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Cystadane upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za njegovo uporabo.

Druge informacije o zdravilu Cystadane

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Cystadane, veljavno po vsej Evropski uniji, izdala 15. februarja 2007.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Cystadane je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Cystadane preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Cystadane je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 10-2016.