



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371444/2015
EMA/H/C/000125

Povzetek EPAR za javnost

Cystagon

merkaptamin

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Cystagon. Pojasnjuje, kako je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) ocenil zdravilo Cystagon, na podlagi česar je oblikoval mnenje za odobritev dovoljenja za promet z njim in priporočila glede pogojev njegove uporabe.

Kaj je zdravilo Cystagon?

Cystagon je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino merkaptamin (znan tudi kot cisteamin). Na voljo je v obliki kapsul (50 in 150 mg).

Za kaj se zdravilo Cystagon uporablja?

Zdravilo Cystagon se uporablja za zdravljenje bolnikov, ki imajo nefropatsko (ledvično) cistinozo. Cistinoza je redka dedna bolezen, pri kateri se prevelike količine cistina, tj. aminokisline, ki je naravno prisotna v telesu, kopičijo v celicah, zlasti v ledvicah in očeh, kar povzroča njihove poškodbe.

Izdaja zdravila je le na recept.

Kako se zdravilo Cystagon uporablja?

Zdravljenje z zdravilom Cystagon lahko uvede samo zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem cistinoze.

Pri bolnikih je treba spremljati raven cistina v belih krvničkah in na podlagi tega prilagajati odmerek.

Pri otrocih do 12. leta starosti se priporočeni dnevni odmerek izračuna na podlagi njihove telesne površine (izračunane na osnovi telesne višine in mase), in sicer znaša 1,30 g na m² telesne površine, kar se razdeli na 4 odmerke. Pri bolnikih, starejših od 12 let in težjih od 50 kg, je priporočeni dnevni odmerek 2 g, ki se razdeli na 4 odmerke. Začetni odmerek mora znašati eno četrtno do eno šestino končnega pričakovanega odmerka. Začetni odmerek se povečuje postopoma v obdobju 4 do 6 tednov.



Največji odmerek nikoli ne sme preseči 1,95 g na m² na dan. Za več informacij glejte navodilo za uporabo.

Kako zdravilo Cystagon deluje?

Zdravilna učinkovina v zdravilu Cystagon, merkaptamin, reagira s cistinom tako, da tvori drugo aminokislino, imenovano cistein, in snov, imenovano cistein-cisteaminska sol. Telo lahko to sol odstrani iz celic. S tem se zmanjša količina cistina v organih, s tem pa tudi njihove okvare.

Kako je bilo zdravilo Cystagon raziskano?

Cystagon so raziskovali v treh glavnih študijah, ki so zajemale 234 bolnikov v obdobju 12 let. Študije so vključevale otroke in nove bolnike, na katerih so testirali dva različna odmerka. Zaradi etičnih razlogov in ker je bolezen zelo resna, ni bilo možno primerjati zdravila Cystagon neposredno s placebom (zdravilom brez zdravilne učinkovine). Namesto tega je bila narejena primerjava s skupino bolnikov, ki so bili zdravljeni z zdravilom brez zdravilne učinkovine kot del drugega preskušanja, ki ni bilo povezano s to študijo. V študijah so proučevali delovanje ledvic, stopnjo preživetja in rasti pri bolnikih.

Kakšne koristi je zdravilo Cystagon izkazalo med študijami?

Tri študije so pokazale, da zdravilo Cystagon odloži težave z ledvicami in potrebo po dializi ali presaditvi ledvic, če se zdravljenje prične v zgodnji starosti. Obenem izboljšuje stopnjo preživetja in rasti pri zdravljenih otrocih.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Cystagon?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Cystagon (opaženi pri 1 bolniku od 10) so izguba teka, bruhanje, driska, navzeja (slabost), driska, letargija (pomanjkanje energije) in pireksija (povišana telesna temperatura). Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila Cystagon, glejte navodilo za uporabo.

Zdravila Cystagon ne smejo uporabljati osebe, ki so preobčutljive za (alergične na) cisteamin ali katerokoli drugo sestavino zdravila ali na drugo zdravilo, imenovano penicilamin. Prav tako ga ne smejo uporabljati ženske, ki dojijo ali so noseče (zlasti v prvih treh mesecih nosečnosti), razen če je to res nujno potrebno.

Zakaj je bilo zdravilo Cystagon odobreno?

Cistinoza je redka, smrtno nevarna bolezen in zdravilo Cystagon velja za koristno zdravilo zanjo. CHMP je zaključil, da so koristi zdravila Cystagon večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se zanj odobri dovoljenje za promet.

Druge informacije o zdravilu Cystagon

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom Cystagon, veljavno po vsej Evropski uniji, odobrila dne 23. junija 1997.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Cystagon je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Cystagon preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 07-2013.