

EMA/CHMP/371445/2015
EMA/H/C/000125

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Cystagon

merkaptamin

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Cystagon. Det förklarar hur Kommittén för humanläkemedel (CHMP) bedömt läkemedlet och hur den kommit fram till sitt ställningstagande om att bevilja godkännande för försäljning och sina rekommendationer om hur läkemedlet ska användas.

Vad är Cystagon?

Cystagon är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen merkaptamin (kallas också cysteamin). Det finns som kapslar (50 mg och 150 mg).

Vad används Cystagon för?

Cystagon används för att behandla patienter som har nefropatisk cystinos (nefropatisk innebär att symtomen kommer från njurarna). Cystinos är en ovanlig ärftlig sjukdom som kännetecknas av att cystin, en aminosyra som finns naturligt i kroppen, ansamlas i vissa celler, särskilt i njurarna och ögonen, och skadar dem.

Läkemedlet är receptbelagt.

Hur används Cystagon?

Cystagonbehandling ska inledas av en läkare med erfarenhet av att behandla cystinos.

Cystinhalten i vita blodkroppar ska mätas för att justera dosen.

För barn upp till 12 år beräknas den rekommenderade dagliga dosen efter kroppsytan (beräknas utifrån patientens längd och vikt), med 1,30 gram/m² uppdelat på fyra doser per dag. För patienter över 12 år och en vikt över 50 kg är den rekommenderade dagliga dosen 2 gram uppdelat på fyra doser per dag. Startdoserna ska vara en fjärdedel till en sjättedel av de förväntade slutliga doserna. Startdosen bör

ökas gradvis under 4–6 veckor. Den maximala dosen bör aldrig överstiga 1,95 gram per kvadratmeter kroppsytta och dag. Mer information finns i bipacksedeln.

Hur verkar Cystagon?

Den aktiva substansen i Cystagon, merkaptamin, reagerar med cystin för att bilda en annan aminosyra som kallas cystein, och med en förening som kallas cystein-cysteaminsalt. Det här saltet kan kroppen avlägsna från cellerna. Mängden cystin i organen minskas därför och detta begränsar skadan på dessa organ.

Hur har Cystagons effekt undersökts?

Cystagon har undersökts i tre huvudstudier med 234 patienter under en tolvårsperiod. Studierna omfattade barn och nyligen rekryterade patienter på vilka två olika doser testades. Eftersom sjukdomen är mycket allvarlig var det av etiska skäl inte möjligt att direkt jämföra Cystagon med en placebobehandling (overksam behandling). Jämförelsen gjordes istället med en grupp patienter som hade behandlats med en placebobehandling som ingick i ett annat oberoende försök. I studierna tittade man på njurfunktion, överlevnad och tillväxt hos patienterna.

Vilken nytta har Cystagon visat vid studierna?

De tre studierna visade att Cystagon fördröjer njurproblem och behovet av dialys eller njurtransplantation när behandlingen startar vid låg ålder. Det förbättrar också överlevnaden och tillväxten för de behandlade barnen.

Vilka är riskerna med Cystagon?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Cystagon (uppträder hos mer än 1 av 10 patienter) är aptitförlust, kräkning, illamående, diarré, letargi (brist på energi) och feber. En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för Cystagon finns i bipacksedeln.

Cystagon får inte ges till personer som är överkänsliga (allergiska) mot cysteamin, mot något annat innehållsämne, eller mot ett läkemedel som kallas penicillamin. Det bör inte heller ges till kvinnor som ammar eller är gravida (särskilt under graviditetens första tre månader) om det inte är absolut nödvändigt.

Varför har Cystagon godkänts?

Cystinos är en ovanlig, livshotande sjukdom och Cystagon anses vara ett läkemedel som gör nytta vid behandling av denna sjukdom. CHMP fann att nyttan med Cystagon är större än riskerna och rekommenderade att Cystagon skulle godkännas för försäljning.

Mer information om Cystagon

Den 23 juni 1997 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Cystagon som gäller i hela EU.

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Mer information om behandling med Cystagon finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Denna sammanfattning uppdaterades senast 07-2013.