



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371425/2015  
EMA/H/C/000125

## Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

---

# Cystagon

## mercaptaminum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Cystagon. Objasňuje, jakým způsobem Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) vyhodnotil tento přípravek, aby mohl vypracovat své stanovisko k vydání rozhodnutí o registraci a doporučení ohledně podmínek pro používání přípravku Cystagon.

### Co je Cystagon?

Cystagon je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku merkaptamin (známý rovněž jako cysteamin). Je dostupný ve formě tobolek (50 a 150 mg).

### K čemu se přípravek Cystagon používá?

Přípravek Cystagon se používá u pacientů, kteří trpí nefropatickou (postihující ledviny) cystinózou. Cystinóza je vzácné dědičné onemocnění, při němž se nadměrné množství cystinu (aminokyseliny, která se přirozeně nachází v těle) hromadí v buňkách, zejména v ledvinách a v očích, a poškozuje je.

Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

### Jak se přípravek Cystagon používá?

Léčba přípravkem Cystagon by měla být zahájena lékařem, který má zkušenosti s léčbou cystinózy.

Hladinu cystinu v bílých krvinkách je třeba sledovat a zjištěné hodnoty použít k přizpůsobení dávkování.

U dětí do 12 let věku se doporučená denní dávka stanoví na základě povrchu těla (vypočteného pomocí tělesné výšky a hmotnosti pacienta). Činí 1,30 g/m<sup>2</sup> a je rozdělena do 4 dávek denně. U pacientů nad 12 let věku a 50 kg váhy činí doporučená denní dávka 2 g a je rozdělena do 4 dávek denně. Počáteční dávka by měla představovat jednu čtvrtinu až jednu šestinu předpokládané konečné dávky. Počáteční dávka by měla být v průběhu 4 až 6 týdnů postupně zvyšována. Maximální dávka by nikdy neměla překročit 1,95 g/m<sup>2</sup>/den. Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.



## **Jak přípravek Cystagon působí?**

Léčivá látka v přípravku Cystagon, merkaptamin, reaguje s cystinem, v důsledku čehož se vytváří jiná aminokyselina nazývaná cystein a sloučenina označovaná jako sůl cystein-cysteaminu. Tělo je schopno tuto sůl odstraňovat z buněk, čímž se snižuje množství cystinu v orgánech a omezuje se míra jejich poškození.

## **Jak byl přípravek Cystagon zkoumán?**

Přípravek Cystagon byl zkoumán ve třech hlavních studiích, do kterých bylo zařazeno 234 pacientů po dobu 12 let. Tyto studie testovaly dvě různé dávky přípravku na dětech a nově přijatých pacientech. Vzhledem k tomu, že se jedná o velmi vážné onemocnění, nebylo z etických důvodů možné srovnávat přípravek Cystagon přímo s placebem (léčbou neúčinným přípravkem). Místo toho bylo srovnání provedeno se skupinou pacientů, kterým bylo podáváno placebo v rámci jiné, nesouvisející studie. Studie hodnotily funkci ledvin, přežití a míru fyzického růstu pacientů.

## **Jaký přínos přípravku Cystagon byl prokázán v průběhu studií?**

Tři provedené studie prokázaly, že pokud je léčba zahájena v nízkém věku, přípravek Cystagon oddaluje problémy s ledvinami a nutnost dialýzy či transplantace ledvin. U léčených dětí rovněž zvyšuje šance na přežití a míru fyzického růstu.

## **Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Cystagon?**

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Cystagon (zaznamenanými u více než 1 pacienta z 10) jsou ztráta chuti k jídlu, zvracení, nauzea (pocit nevolnosti), průjem, letargie (nedostatek energie) a pyrexie (horečka). Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s přípravkem Cystagon je uveden v příbalové informaci.

Přípravek Cystagon nesmějí užívat osoby s přecitlivělostí (alergií) na cysteamin nebo na kteroukoli další složku tohoto přípravku či na jiný lék nazývaný penicillamin. Neměly by jej užívat také kojící ani těhotné ženy (zejména v prvních třech měsících těhotenství), pokud to však není zjevně nutné.

## **Na základě čeho byl přípravek Cystagon schválen?**

Cystinóza je vzácná, smrtelná nemoc a přípravek Cystagon je v souvislosti s ní považován za užitečný. Výbor CHMP rozhodl, že přínosy přípravku Cystagon převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby mu bylo uděleno rozhodnutí o registraci.

## **Další informace o přípravku Cystagon**

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci přípravku Cystagon platné v celé Evropské unii dne 23. června 1997.

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Cystagon je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Další informace o léčbě přípravkem Cystagon naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo kontaktujte svého lékaře či lékárníka.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 07-2013.