



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371431/2015  
EMA/H/C/000125

## Kokkuvõte üldsusele

---

# Cystagon

## merkaptamiin

See on ravimi Cystagon Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas inimravimite komitee hindas ravimit ja otsustas toetada müügiloa andmist; samuti esitatakse komitee soovitused, kuidas ravimit kasutada.

### Mis on Cystagon?

Cystagon on ravim, mis sisaldab toimeainena merkaptamiini (teise nimetusega tsüsteamiin). Seda turustatakse kapslitena (50 ja 150 mg).

### Milleks Cystagoni kasutatakse?

Cystagoni kasutatakse nefropaatilise (neerude) tsüstinoosiga patsientide ravimiseks. Tsüstinoos on haruldane pärilik haigus, mille korral koguneb rakkudesse, eelkõige neeru- ja silmarakkudesse normaalsest rohkem tsüstiini. Tsüstiin on üks organismi looduslikest aminohapetest.

Cystagon on retseptiravim.

### Kuidas Cystagoni kasutatakse?

Ravi Cystagoniga tohib alustada üksnes tsüstinoosi ravis kogenud arst.

Ravi ajal tuleb jälgida leukotsüütide (vere valgeliblede) tsüsteiinisisaldust ja annust kohandada.

Kuni 12-aastaste laste soovitatav ööpäevane annus arvutatakse kehapindala järgi (mis omakorda arvutatakse patsiendi pikkuse ja kaalu järgi) ja on 1,30 g/m<sup>2</sup> jagatuna 4 manustamiskorrale. Üle 12-aastastele ja üle 50 kg kaaluvate patsientide soovitatav ööpäevane annus on 2 g jagatuna 4 annustamiskorrale. Algannus peab olema 1/4...1/6 eeldatavast lõplikust annusest. Algannust suurendatakse järk-järgult 4–6 nädala jooksul. Maksimaalne annus ei tohi mingil juhul ületada annust 1,95 g/m<sup>2</sup> ööpäevas. Üksikasjalik teave on pakendi infolehel.



## Kuidas Cystagon toimib?

Cystagoni toimeaine merkaptamiin reageerib tsüstiiniga, mille tulemusena tekib aminohape tsüsteiin ning tsüsteiini ja tsüsteamiini sool. Organism suudab seda soola rakkudest eemaldada. See vähendab tsüstiini kogust elundites, mis vähendab nende elundite kahjustusi.

## Kuidas Cystagoni uuriti?

Cystagoni uuriti kolmes kliinilises põhiuuringus, milles osales 12 aasta vältel 234 patsienti. Uuringutes osalesid lapsed ja uued patsiendid, kellel uuriti kahe annuse toimet. Et haigus on väga raske, ei olnud eetikapõhjustel võimalik otseselt võrrelda Cystagoni mõju platseeboga (näiva ravimiga). Võrdlusena kasutati patsiendirühma, kes oli võtnud platseebot muu, Cystagoni uuringutega mitteseotud uuringu osana. Uuringutes jälgiti patsientide neerutalitlust, elulemust ja kasvukiirust.

## Milles seisneb uuringute põhjal Cystagoni kasulikkus?

Kolmes uuringus selgus, et ravi Cystagoniga lükkab edasi neeruprobleemide tekkimist ning neeru dialüüsi või siirdamise vajadust, kui ravi algab varajases eas. See suurendab ka ravitavate laste elulemust ja kasvukiirust.

## Mis riskid Cystagoniga kaasnevad?

Cystagoni kõige sagedamad kõrvalnähud (esinenud 1–10 patsiendil 100st) on isutus, oksendamine, peavalu, iiveldus, kõhulahtisus, loidus ja palavik. Cystagoni kohta teatatud kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

Cystagoni ei tohi kasutada patsiendid, kes on tsüsteamiini, selle ravimi mis tahes muu koostisaine või penitsillamiini suhtes ülitundlikud (allergilised). Ravimit ei tohi kasutada imetamise ega raseduse ajal (eriti kolme esimese raseduskuu vältel), v.a kui ravi järgi on ilmne vajadus.

## Miks Cystagon heaks kiideti?

Tsüstinoos on haruldane ja fataalne haigus, mille ravis peetakse Cystagoni kasulikuks. Inimravimite komitee otsustas, et Cystagoni kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas anda ravimi müügiloa.

## Muu teave Cystagoni kohta

Euroopa Komisjon andis Cystagoni müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 23. juunil 1997.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst Cystagoni kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Kui vajate Cystagoniga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 07-2013.