



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumen del EPAR para el público general

---

# Cystadane

betaína anhidra

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Cystadane. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado el medicamento y ha emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Cystadane.

Para más información sobre el tratamiento con Cystadane, el paciente deberá leer el prospecto (también incluido en el EPAR) o consultar a su médico o farmacéutico.

### ¿Qué es Cystadane y para qué se utiliza?

Cystadane es un medicamento indicado para el tratamiento de la homocistinuria, una enfermedad hereditaria en la que el organismo no puede degradar por completo el aminoácido homocisteína y en consecuencia se acumula en el organismo. Esto provoca una amplia gama de síntomas, incluida perturbación de la visión, debilidad de los huesos y problemas circulatorios.

Se utiliza con otros tratamientos, como la vitamina B6 (piridoxina), la vitamina B12 (cobalamina), folato y una dieta especial.

Cystadanega contiene el principio activo betaína anhidra.

Dado que el número de pacientes afectados por homocistinuria es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Cystadane fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 9 de julio de 2001.

### ¿Cómo se usa Cystadane?

El tratamiento con Cystadane deberá iniciarlo un médico con experiencia en el tratamiento de los pacientes con homocistinuria.

Cystadane está disponible en forma de polvo para ingestión por vía oral. La dosis normal de Cystadane es de 100 mg al día por kilogramo de peso corporal, dividida en dos dosis similares. La dosis puede



ajustarse dependiendo de la respuesta al tratamiento (supervisado mediante la medición del nivel de homocisteína en la sangre) El objetivo del tratamiento es mantener los niveles en sangre de homocisteína por debajo de los 15 micromoles o lo más bajos posible. Por lo general esto se logra al cabo de un mes.

Cystadane se suministra con 3 cucharas graduadas a 100 mg, 150 mg y 150 mg de polvo. Debe disolverse por completo en agua, zumo, leche, leche en polvo para lactantes o alimento y ha de tomarse inmediatamente después.

## **¿Cómo actúa Cystadane?**

La betaína es una sustancia natural que se extrae de la remolacha azucarera. En la homocistinuria, la betaína reduce los niveles de homocisteína en el organismo transformando la homocisteína en aminoácido metionina. Esto ayuda a controlar los síntomas de la enfermedad.

## **¿Qué beneficios ha demostrado tener Cystadane en los estudios realizados?**

La empresa presentó información sobre Cystadane procedente de la bibliografía científica. Esta incluía 202 informes que describían los efectos de Cystadane, administrado a diversas dosis, sobre los niveles de homocisteína en los pacientes de homocistinuria de diferentes edades. En el caso de 140 pacientes, se proporcionó también información sobre sus síntomas, la dosis y la duración del tratamiento y otros medicamentos que debían ingerirse. La mayoría de los pacientes también estaban ingiriendo vitaminas B6 o B12, o folato. La información contenida en estos estudios se comparó con informes publicados en los que se describía el resultado de los pacientes no tratados que sufrían la enfermedad.

Los pacientes que tomaban Cystadane parecían presentar mayores reducciones de homocisteína que los pacientes no tratados. Esto se asoció con una mejoría de los síntomas que afectan al sistema cardiovascular (corazón y vasos sanguíneos) así como a una mejora en los problemas de desarrollo en alrededor de tres cuartas partes de los pacientes que toman Cystadane. El medicamento fue eficaz en pacientes con los tres tipos de homocistinuria.

## **¿Cuáles son los riesgos asociados a Cystadane?**

El efecto adverso más frecuente de Cystadane (observado en más de un paciente de cada 10 ) es la elevación de los niveles de metionina en sangre. Deben supervisarse los niveles de metionina en los pacientes que toman Cystadane, ya que podría provocar edema cerebral (hinchazón del cerebro). Los pacientes con síntomas de edema cerebral, como cefaleas con vómitos por las mañanas, o alteraciones de la visión, deben hablar con su médico, pues podría ser necesario interrumpir la administración de Cystadane.

La lista completa de efectos adversos y restricciones puede consultarse en el prospecto.

## **¿Por qué se ha aprobado Cystadane?**

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) concluyó que, aunque existen pocos estudios sistemáticos de Cystadane, el medicamento es útil cuando se añade a los tratamientos existentes de la homocistinuria, como los suplementos vitamínicos y la dieta especial. El Comité observó que Cystadane no sustituye a los demás tratamientos.

El Comité decidió que los beneficios de Cystadane superan a sus riesgos en el tratamiento adyuvante de la homocistinuria cuando se utiliza siguiendo su indicación. El Comité recomendó autorizar la comercialización de Cystadane.

## ¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Cystadane?

La empresa que fabrica Cystadane creará un registro de los pacientes que toman este medicamento para vigilar su seguridad. En concreto, vigilará los casos de edema cerebral observados en un pequeño número de pacientes durante las pruebas del medicamento.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Cystadane se han incluido también en la Ficha Técnica o Resumen de las Características del Producto y el Prospecto.

## Otras informaciones sobre Cystadane

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Cystadane el viernes, 15 de febrero de 2007.

El EPAR completo de Cystadane puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Para más información sobre el tratamiento con Cystadane, lea el prospecto (que también forma parte del EPAR) o consulte con su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Cystadane se puede consultar en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Fecha de la última actualización del presente resumen: 10-2016