



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/584599/2013  
EMA/H/C/002465

## Resumen del EPAR para el público general

---

# Procysbi

## mercaptamina

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

Si desean obtener información práctica sobre cómo usar Procysbi, los pacientes deberán leer el prospecto o ponerse en contacto con su médico o farmacéutico.

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

Procysbi es un medicamento que contiene el principio activo mercaptamina (también conocido como cisteamina). Se utiliza en pacientes con cistinosis nefropática (renal). La cistinosis es una enfermedad hereditaria en la que la cistina, un aminoácido presente de forma natural en el organismo, se acumula en cantidades excesivas dentro de las células, especialmente las de los riñones y los ojos, dañándolas.

Dado que el número de pacientes afectados por la cistinosis es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Procysbi fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 20 de septiembre de 2010.

Procysbi es un «medicamento híbrido», lo que significa que es similar a un «medicamento de referencia» que contiene el mismo principio activo; pero Procysbi se presenta en una formulación que permite una liberación mantenida del principio activo en el organismo. El medicamento de referencia para Procysbi es Cystagon.

### ¿Cómo se usa Procysbi?

Procysbi solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento se debe iniciar bajo la supervisión de un médico con experiencia en el tratamiento de la cistinosis.



Procysbi se presenta en forma de cápsulas gastroresistentes (25 y 75 mg). Gastroresistente significa que el contenido de las cápsulas atraviesa el estómago sin descomponerse hasta que alcanza el intestino. La dosis diaria recomendada se calcula a partir de la superficie corporal, a razón de 1,30 g por m<sup>2</sup>, fraccionada en 2 tomas administradas cada 12 horas. Se debe controlar el nivel de cistina en los glóbulos blancos (que se mide en términos de nmol de hemicistina por mg de proteína leucocitaria (de los glóbulos blancos)) o la concentración de mercaptamina en sangre para ajustar la dosis, que nunca debe superar 1,95 g por m<sup>2</sup> al día. Para más información, consulte el prospecto.

### **¿Cómo actúa Procysbi?**

El principio activo de Procysbi, la mercaptamina, reacciona con la cistina formando otro aminoácido, la cisteína, y un compuesto denominado sal de cisteína-cisteamina que el organismo es capaz de eliminar de las células. Así se reduce la cantidad de cistina presente en los órganos y se limita el daño a estos órganos.

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

Se ha demostrado que Procysbi administrado cada 12 horas es al menos tan eficaz como Cystagon administrado cada 6 horas para mantener la cantidad de cistina presente en los glóbulos blancos en niveles aceptables (menos de 1 nmol de hemicistina por mg de proteína leucocitaria). En un estudio fundamental en el que participaron 43 pacientes con cistinosis nefropática, no se encontraron diferencias significativas entre los niveles medios de cistina en los glóbulos blancos durante un tratamiento de 3 semanas con los dos medicamentos. El nivel fue de 0,51 nmol/mg con Procysbi, frente a 0,44 nmol/mg con Cystagon.

### **¿Cuál es el riesgo asociado a Procysbi?**

Los efectos secundarios más frecuentes de Procysbi (observados en más de un paciente de cada 10) son pérdida de apetito, vómitos, náuseas (ganas de vomitar), diarrea, letargo (falta de energía) y pirexia (fiebre). Para consultar la lista completa de efectos secundarios notificados sobre Procysbi, ver el prospecto.

Procysbi no se debe utilizar en personas que sean hipersensibles (alérgicas) a ninguna forma de mercaptamina ni a cualquiera de los otros componentes, ni a la penicilamina. Tampoco deben emplearlo las mujeres durante el periodo de lactancia.

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

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia decidió que los beneficios de Procysbi son mayores que sus riesgos y recomendó su autorización en la UE. El CHMP tuvo en cuenta que Procysbi había demostrado ser al menos tan eficaz como Cystagon para mantener la cantidad de cistina en los glóbulos blancos a niveles aceptables. El Comité también consideró que cabe esperar que la formulación gastroresistente, gracias a su administración menos frecuente, aumente el cumplimiento del tratamiento y la calidad de vida de los pacientes con cistinosis. Con respecto a su seguridad, el CHMP consideró que el perfil de seguridad de la mercaptamina está bien establecido y es de esperar que la seguridad de Procysbi sea similar a la del medicamento de referencia.

### **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro de Procysbi?**

Se ha elaborado un plan de gestión de riesgos para garantizar que Procysbi se administra del modo más seguro posible. Basándose en este plan, la información sobre seguridad se ha incluido en el

Resumen de las Características del Producto y el prospecto de Procysbi, incluidas las precauciones pertinentes que deberán seguir los profesionales sanitarios y los pacientes.

Además, la empresa que comercializa Procysbi facilitará material educativo a todos los médicos que puedan prescribir el medicamento, con información importante sobre seguridad que incluya el riesgo de que el medicamento pueda ser dañino para el feto.

## **Otras informaciones sobre Procysbi**

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para Procysbi el 06.09.2013.

El EPAR completo de Procysbi 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%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para más información sobre el tratamiento con Procysbi, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Procysbi puede consultarse en el sitio web de la Agencia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Fecha de la última actualización del presente resumen: 09-2013.