



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/CHMP/371430/2015  
EMA/H/C/000125

## Resumen del EPAR para el público general

---

# Cystagon

## mercaptamine

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Cystagon. En él se explica cómo el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable para su autorización de comercialización así como unas recomendaciones sobre las condiciones de su uso.

### ¿Qué es Cystagon?

Cystagon mercaptamine es un medicamento que contiene el principio activo mercaptamina (también conocido como cisteamina) Se presenta en cápsulas (de 50 y 150 mg).

### ¿Para qué se utiliza Cystagon?

Cystagon se utiliza para tratar a los pacientes con cistinosis nefropática (renal). La cistinosis es una rara enfermedad hereditaria en la que se crea en el interior de las células un exceso de cistina, un aminoácido que se encuentra en el cuerpo de forma natural, especialmente en los riñones y los ojos, dañándolos.

El medicamento sólo podrá dispensarse con receta médica.

### ¿Cómo se usa Cystagon?

El tratamiento con Cystagon debe ser administrado por un médico con experiencia en el tratamiento de la cistinosis.

Deben controlarse los niveles de cistina en leucocitos para ajustar la dosis.

En niños de hasta 12 años la dosis diaria recomendada se calcula en función de la superficie corporal (calculada a partir de la altura y el peso del paciente), y es de 1,30 g por m<sup>2</sup> dividida en 4 tomas. Para pacientes mayores de 12 años y de más de 50 kgs. de peso, la dosis recomendada es de 2 g al día, divididos en 4 tomas. Las dosis iniciales deberían entre un cuarto y un sexto de las dosis finales

---

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 7418 8400 Facsimile +44 (0)20 7418 8416

E-mail [info@ema.europa.eu](mailto:info@ema.europa.eu) Website [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)

An agency of the European Union



previstas. La dosis inicial debe incrementarse gradualmente durante 4 a 6 semanas. La dosis máxima nunca deberá superar 1,95 g por m<sup>2</sup> al día. Para más información, consulte el prospecto.

## **¿Cómo actúa Cystagon?**

El principio activo de Cystagon, la mercaptamina, reacciona con la cistina para formar otro aminoácido, llamado cisteína, y un compuesto denominado sal de cisteína-cisteamina. El organismo es capaz de suprimir esta sal de las células. Se reduce así la cantidad de cistina en los órganos, lo que limita el daño a estos órganos.

## **¿Qué tipo de estudios se han realizado con Cystagon?**

Cystagon se ha investigado en tres estudios clínicos en un total de 234 pacientes durante un período de 12 años. Estos estudios incluyeron a niños y a nuevos pacientes, en los cuales se probaron dos dosis diferentes. Como la enfermedad es muy grave, no fue posible –por razones éticas– comparar directamente el Cystagon con un tratamiento placebo. En cambio, se realizó la comparación con un grupo de pacientes que habían sido tratados con un tratamiento placebo en el marco de otro ensayo no relacionado. Los estudios examinaron la función renal, la supervivencia y la tasa de crecimiento de los pacientes.

## **¿Qué beneficio ha demostrado tener Cystagon durante los estudios?**

Los tres estudios han revelado que Cystagon retrasa los problemas renales y la necesidad de diálisis o trasplante de riñón cuando se inicia el tratamiento en una etapa temprana. También mejora las tasas de supervivencia y crecimiento en los niños tratados.

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

Los efectos secundarios más frecuentes durante el tratamiento con Cystagon (observados en 1 de cada 10 pacientes) son pérdida del apetito, vómitos, náuseas (sensación de malestar), diarrea, letargia (falta de energía) y fiebre. Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados sobre Cystagon, ver el prospecto.

Cystagon no debe administrarse a pacientes hipersensibles (alérgicos) a la cisteamina o a cualquiera de los ingredientes, o a otro medicamento denominado penicilamina. También hay que señalar que no se deberá administrar a mujeres en periodo de lactancia o embarazadas (en particular durante los primeros tres meses) salvo que sea claramente necesario.

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

La cistinosis es una enfermedad rara y mortal, y se considera que Cystagon es un fármaco útil para tratar esta enfermedad. El Comité decidió que los beneficios de Cystagon son mayores que sus riesgos y recomendó que se autorizara su comercialización.

## **Otras informaciones sobre Cystagon:**

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Cystagon el 23 de junio de 1997.

El EPAR completo de Cystagon se puede consultar en la página 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 Cystagon, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 07-2013.