

→ Therapeutisches Ziel:

Leukozytärer oder granulozytärer Cystingehalt unterhalb
1 nmol Hemicystin/mg Protein

→ Dosierungsintervall

- IR-Cysteamin (IR: immediate release, sofortige Wirkstofffreisetzung)
4 Tagesgaben im Abstand von 6 Stunden (auch nachts)
- DR-Cysteamin (DR: delayed release, verzögerte Wirkstofffreisetzung)
2 Tagesgaben im Abstand von 12 Stunden

→ Dosis

- Angestrebte Erhaltungsdosis: 1,3 g/m²/Tag, ab einem Körpergewicht
von 50 kg 2 g/Tag

Körpergewicht in Kilogramm	Empfohlene Tagesdosis in Milligramm
0-5	400
5-10	600
11-15	800
16-20	1000
21-25	1200
26-30	1400
31-40	1600
41-50	1800
>50	2000

- Einstellung neu diagnostizierter Patienten: Start mit 1/4 bis 1/6
der erwarteten Erhaltungsdosis
- Umstellung von IR- auf DR-Cysteamin: Orientierung an der Dosis der
Vorthherapie, möglicher Start mit 70% der Gesamttagesdosis der Vorthherapie¹
- Schrittweise Erhöhung auf die Erhaltungsdosis

¹Langman CB et al. Clin J Am Soc Nephrol 2012; 7: 1112-1120

→ Dosisanpassung

- Wenn die Therapie gut vertragen wird und der leukozytäre bzw. granulozytäre Cystingehalt oberhalb von 1 nmol Hemicystin/mg Protein liegt (bei gesicherter Einnahmetreue)
- Bei Wachstum/Gewichtszunahme
- Bei schlechter Verträglichkeit (Therapieunterbrechung und anschließende schrittweise Steigerung der Dosis auf die Erhaltungsdosis)
- Die Anwendung höherer Dosen als 1,95 g/m²/Tag wird nicht empfohlen

→ Therapiemonitoring – Bestimmung der leukozytären bzw. granulozytären Cystinkonzentration

- Empfohlene Frequenz in der Anfangs- oder Umstellungsphase der Therapie: alle 2-4 Wochen
- Empfohlene Frequenz in stabilen Therapiephasen: alle 3-4 Monate
- Zeitpunkt der Blutentnahme bei IR-Cysteamin: 5-6 Stunden nach der letzten Einnahme
- Zeitpunkt der Blutentnahme bei DR-Cysteamin: 12,5 Stunden nach der vorabendlichen Einnahme und somit 30 Minuten nach der morgendlichen Einnahme
- In Deutschland kann die Untersuchung bisher nur in drei spezialisierten Stoffwechsellaboren in Hannover, Heidelberg und Münster durchgeführt werden (keine Standardbestimmung, eine Terminvereinbarung vorab ist zwingend erforderlich). Die Labore in Hannover und in Münster führen die leukozytäre Cystinbestimmung durch. In Heidelberg wird die Cystinkonzentration in den Granulozyten bestimmt.

→ Cysteamin und Nahrungsmittel

- IR-Cysteamin: Einnahme während oder unmittelbar nach Nahrungsaufnahme verbessert die Magen-Darm-Verträglichkeit; Milch, Kartoffeln und andere stärkehaltige Nahrungsmittel sind geeignet zum Vermengen mit dem Kapselinhalt; säurehaltige Getränke sollten vermieden werden
- DR-Cysteamin: keine Nahrungsaufnahme 1 Stunde vor und 1 Stunde nach Einnahme; fettreiche, proteinreiche und gefrorene Nahrungsmittel sind ungeeignet; saure Fruchtsäfte und Fruchtmus sind geeignet zum Vermengen mit dem Kapselinhalt

Detaillierte Informationen entnehmen Sie bitte der Fachinformation des angewendeten Cysteamin-Präparats.