



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*mercaptamine*)

Общ преглед на Cystadrops и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Cystadrops и за какво се използва?

Cystadrops е лекарство за очи, което се използва при пациенти на възраст 6 месеца и повече, които имат цистиноза. Цистинозата представлява наследствено заболяване, при което естественото вещество цистин се натрупва в организма и се образуват вредни кристали, по-специално в бъбреците и роговицата (прозрачния слой в предната част на окото). Cystadrops се използва за намаляване отлагането на цистинови кристали в роговицата.

Тъй като броят на пациентите с цистиноза е малък, болестта се счита за „рядка“ и Cystadrops е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 7 ноември 2008 г.

Cystadrops съдържа активното вещество меркаптами (mercaptamine), известно също като цистеамин.

Как се използва Cystadrops?

Cystadrops се отпуска по лекарско предписание и лечението следва да се прилага само под наблюдението на лекар с опит в лечението на цистиноза.

Cystadrops се предлага под формата на капки за очи. Препоръчителната доза е 1 капка във всяко око по 4 пъти на ден по време на будно състояние. Лекарят може постепенно да намали дозата до 1 капка дневно в зависимост от резултатите от прегледите на очите. Лечението е дългосрочно и не трябва да се спира.

За повече информация вижте листовката.

Как действа Cystadrops?

Натрупването на цистинови кристали в клетките на роговицата води до увреждане на очите и може да предизвика сериозни проблеми със зрението. Активното вещество в Cystadrops,

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



меркаптамин, взаимодейства с цистина, като го разтвoря, и се образуват вещества, които могат да бъдат премахнати от клетките. Когато лекарството се приложи в окото, количеството цистин в клетките на роговицата намалява, като така се ограничава увреждането на очите.

Какви ползи от Cystadrops са установени в проучванията?

Cystadrops е сравнен с капки за очи с по-слабо концентриран разтвор на меркаптамин в едно основно проучване при 32 пациенти с цистиноза, навършили 2 години. Основната мярка за ефективност е въз основа на намаляването на цистиновите кристали в роговицата, оценено през микроскоп и количествено определено по скор, наречен IVCM. Обхватът на скорa е от 0 до 28, като 0 се отбелязва при отсъствие на кристали. В началото на проучването пациентите в двете групи са със среден скор около 10. Доказано е, че Cystadrops е по-ефективен от контролното лекарство за намаляване на цистиновите кристали в роговицата след 3-месечно лечение: при пациентите на Cystadrops се отчита намаление от 4,6 точки на скорa от IVCM, сравнено с намаление от 0,5 точки при пациентите, прилагащи контролното лекарство. Лечението с Cystadrops води и до намаляване на фотофобията (повишена чувствителност към светлина).

Допълнителни данни от пет деца на възраст под 2 години показват, че Cystadrops може да намали отлаганията на цистинови кристали в роговицата при деца на възраст от 6 месеца нагоре. Освен това е показано, че безопасността на Cystadrops при деца е сходна с тази при възрастни.

Какви са рисковете, свързани с Cystadrops?

За пълния списък на всички нежелани реакции и ограничения при Cystadrops вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Cystadrops (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) се отнасят до очите и включват болка, сърбеж и дразнене в окото, повишено слъзоотделяне (слъзене на очите), замъглено зрение и очна хиперемия (зачервени очи). Тези нежелани реакции са леки или умерени и обикновено са преходни.

Защо Cystadrops е разрешен за употреба в ЕС?

Капките за очи под формата на разтвор с меркаптамин, приготвени на място в аптеки или болнични заведения, се използват от много години за лечение на очните симптоми на цистиноза. Освен това в проучване е доказано, че Cystadrops е ефективен за намаляване на цистиновите кристали в роговицата. Лекарството подобрява и други симптоми на цистиноза, например фотофобия. По отношение на безопасността, въпреки че нежеланите реакции, свързани с очите, са много чести, обикновено могат да бъдат овладени.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Cystadrops са по-големи от рисковете, и препоръча Cystadrops да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Cystadrops?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Cystadrops, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Cystadrops непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Cystadrops, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Cystadrops:

Cystadrops получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на 19 януари 2017 г.

Допълнителна информация за Cystadrops можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Дата на последно актуализиране на текста 06-2025.