



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*merkaptamin*)

Přehled pro přípravek Cystadrops a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Cystadrops a k čemu se používá?

Cystadrops je oční léčivý přípravek používaný u pacientů ve věku od 6 měsíců, kteří trpí cystinózou. Cystinóza je dědičné onemocnění, při kterém se v těle hromadí přírodní látka zvaná cystin, což vede k tvorbě škodlivých krystalů, zejména v ledvinách a v rohovce (průhledné vrstvě v přední části oka). Přípravek Cystadrops se používá ke zmírnění hromadění krystalů cystinu v rohovce.

Jelikož počet pacientů s cystinózou je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Cystadrops byl dne 7. listopadu 2008 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Přípravek Cystadrops obsahuje léčivou látku merkaptamin (také známou jako cysteamin).

Jak se přípravek Cystadrops používá?

Výdej přípravku Cystadrops je vázán na lékařský předpis. Léčba přípravkem Cystadrops by měla být zahájena pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s léčbou cystinózy.

Přípravek Cystadrops je k dispozici ve formě očních kapek. Doporučená dávka je 1 kapka do každého oka čtyřikrát denně kromě doby spánku. Lékař může v závislosti na výsledcích vyšetření oka dávku postupně snižovat až na 1 kapku jednou denně. Léčba by měla být dlouhodobá.

Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

Jak přípravek Cystadrops působí?

Poškození způsobené hromaděním krystalů cystinu v buňkách rohovky může vést k závažným potížím se zrakem. Léčivá látka v přípravku Cystadrops, merkaptamin, s cystinem reaguje tak, že se cystin rozpustí a vzniknou látky, které lze z buněk odstranit. Když se tento léčivý přípravek aplikuje do oka, sníží se množství cystinu v buňkách rohovky, což zmírňuje poškození oka.

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



© European Medicines Agency, 2025. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Jaké přínosy přípravku Cystadrops byly prokázány v průběhu studií?

Přípravek Cystadrops byl srovnáván s jinými očními kapkami ve formě roztoku s nižší koncentrací merkaptaminu v jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 32 pacientů s cystinózou ve věku od 2 let. Hlavní měřítko účinnosti vycházelo ze snížení množství krystalů cystinu v rohovce při pozorování pod mikroskopem a bylo vyjádřeno pomocí tzv. konfokálního mikroskopického celkového skóre *in vivo* (IVCM). Toto skóre používá rozsah od 0 do 28, přičemž 0 znamená, že nejsou přítomny žádné krystaly. Na začátku studie měli pacienti v obou skupinách průměrné skóre 10. Bylo prokázáno, že přípravek Cystadrops byl v rámci snížení množství krystalů cystinu v rohovce po 3 měsících léčby účinnější než srovnávací léčivý přípravek: zatímco u pacientů užívajících přípravek Cystadrops skóre IVCM pokleslo o 4,6 bodu, u pacientů užívajících srovnávací léčivý přípravek pokleslo o 0,5 bodu. Léčba přípravkem Cystadrops také vedla ke zmírnění fotofobie (podráždění očí při jasném světle).

Z dalších údajů získaných u pěti dětí mladších 2 let vyplynulo, že přípravek Cystadrops může u dětí ve věku od 6 měsíců snížit množství krystalických usazenin cystinu v rohovce. Kromě toho bylo prokázáno, že bezpečnost přípravku Cystadrops u dětí je podobná jako u dospělých.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Cystadrops?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Cystadrops je uveden v příbalové informaci.

Nejčastější nežádoucí účinky přípravku Cystadrops (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) souvisí s očima a zahrnují bolest, svědění a podráždění očí, zvýšené slzení, rozmazané vidění a hyperemie očí (zarudnutí oka). Tyto účinky jsou obvykle mírné až středně závažné povahy a jsou přechodné.

Na základě čeho byl přípravek Cystadrops registrován v EU?

Oční kapky ve formě roztoku s merkaptaminem vyráběné místně v lékárnách nebo nemocnicích se k léčbě očních příznaků cystinózy používají již řadu let. Přípravek Cystadrops navíc v jedné studii prokázal svou účinnost v rámci snižování množství krystalů cystinu v rohovce. Přípravek také zlepšil jiné příznaky cystinózy, například fotofobii. Co se týče bezpečnosti, ačkoli nežádoucí účinky týkající se očí jsou velmi časté, jsou obvykle zvladatelné.

Evropská agentura pro léčivé přípravky tedy rozhodla, že přínosy přípravku Cystadrops převyšují jeho rizika, a proto doporučila, aby byl schválen k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Cystadrops?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Cystadrops, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Cystadrops průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Cystadrops jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Cystadrops

Přípravku Cystadrops bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé Evropské unii dne 19. ledna 2017.

Další informace o přípravku Cystadrops jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 06-2025.