



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (μερκαπταμίνη)

Ανασκόπηση του Cystadrops και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Cystadrops και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Cystadrops είναι οφθαλμικό φάρμακο που χορηγείται σε ασθενείς ηλικίας 6 μηνών και άνω που πάσχουν από κυστίνωση. Η κυστίνωση είναι μια κληρονομική νόσος κατά την οποία η φυσική ουσία κυστίνη συσσωρεύεται στον οργανισμό σχηματίζοντας κρυστάλλους οι οποίοι προκαλούν βλάβη, κυρίως στα νεφρά και τον κερατοειδή (η διαφανής μεμβράνη που καλύπτει το πρόσθιο τμήμα του οφθαλμού). Το Cystadrops χορηγείται για τη μείωση της ποσότητας κρυστάλλων κυστίνης που συσσωρεύονται στον κερατοειδή.

Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με κυστίνωση και, άρα, της σπανιότητας της ασθένειας, το Cystadrops χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 7 Νοεμβρίου 2008.

Το Cystadrops περιέχει τη δραστική ουσία μερκαπταμίνη (γνωστή επίσης ως κυστεαμίνη).

Πώς χρησιμοποιείται το Cystadrops;

Το Cystadrops χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται υπό την επίβλεψη γιατρού με εμπειρία στη διαχείριση της κυστίνωσης.

Το Cystadrops διατίθεται υπό μορφή οφθαλμικών σταγόνων. Η συνιστώμενη δόση είναι 1 σταγόνα σε κάθε οφθαλμό, 4 φορές την ημέρα κατά τις ώρες εγρήγορσης. Ο γιατρός μπορεί να μειώσει σταδιακά τη δόση σε 1 σταγόνα την ημέρα ανάλογα με τα αποτελέσματα της οφθαλμολογικής εξέτασης. Η θεραπεία πρέπει να συνεχίζεται μακροπρόθεσμα.

Για περισσότερες πληροφορίες, ανατρέξτε στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Πώς δρα το Cystadrops;

Η βλάβη που προκαλείται από τη συσσώρευση κρυστάλλων κυστίνης στο εσωτερικό των κυττάρων του κερατοειδούς μπορεί να προκαλέσει σοβαρά προβλήματα όρασης. Η δραστική ουσία του Cystadrops, η

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



μερκαπταμίνη, αντιδρά με την κυστίνη με αποτέλεσμα τη διάλυση της κυστίνης και τον σχηματισμό ουσιών που μπορούν να απομακρυνθούν από τα κύτταρα. Όταν εφαρμόζεται στον οφθαλμό, η ποσότητα κυστίνης στα κύτταρα του κερατοειδούς μειώνεται, περιορίζοντας κατά συνέπεια και τη βλάβη στον οφθαλμό.

Ποια είναι τα οφέλη του Cystadrops σύμφωνα με τις μελέτες;

Το Cystadrops συγκρίθηκε με άλλο λιγότερο συμπυκνωμένο διάλυμα οφθαλμικών σταγόνων μερκαπταμίνης στο πλαίσιο μίας κύριας μελέτης στην οποία μετείχαν 32 ασθενείς ηλικίας 2 ετών και άνω με κυστίνωση. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας βασίστηκε στη μείωση των κρυστάλλων κυστίνης στον κερατοειδή, όπως αυτοί παρατηρήθηκαν στο μικροσκόπιο και ποσοτικοποιήθηκαν με τη χρήση μιας βαθμολογίας που ονομάζεται βαθμολογία IVCM. Η βαθμολογία κυμάνθηκε από 0 έως 28 βαθμούς, με το 0 να αντιστοιχεί σε μηδενική παρουσία κρυστάλλων. Κατά την έναρξη της μελέτης οι ασθενείς και των δύο ομάδων παρουσίαζαν μέση βαθμολογία 10 βαθμών. Το Cystadrops αποδείχτηκε αποτελεσματικότερο από το διάλυμα σύγκρισης στη μείωση του αριθμού κρυστάλλων κυστίνης στον κερατοειδή ύστερα από 3 εβδομάδες θεραπείας: στους ασθενείς που χρησιμοποίησαν το Cystadrops η βαθμολογία IVCM μειώθηκε κατά 4,6 βαθμούς ενώ στους ασθενείς που χρησιμοποίησαν το διάλυμα σύγκρισης η αντίστοιχη μείωση ήταν 0,5 βαθμοί. Η θεραπεία με το Cystadrops περιόρισε επίσης τη φωτοφοβία (δυσφορία του οφθαλμού στο έντονο φως).

Πρόσθετα δεδομένα από πέντε παιδιά ηλικίας κάτω των 2 ετών κατέδειξαν ότι το Cystadrops μπορεί να μειώσει τις εναποθέσεις κρυστάλλων κυστίνης στον κερατοειδή σε παιδιά ηλικίας 6 μηνών και άνω. Επιπλέον, καταδείχθηκε ότι η ασφάλεια του Cystadrops στα παιδιά είναι παρόμοια με την ασφάλεια του φαρμάκου στους ενήλικες.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Cystadrops;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών του Cystadrops περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες του Cystadrops (ενδέχεται να παρατηρηθούν σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) αφορούν τον οφθαλμό και περιλαμβάνουν πόνο, κνησμό και ερεθισμό του οφθαλμού, αυξημένη δακρύρροια (δακρυσμένα μάτια), θαμνή όραση και οφθαλμική υπεραιμία (κόκκινα μάτια). Οι ανεπιθύμητες αυτές ενέργειες είναι συνήθως ήπιες ή μέτριας έντασης και παροδικές.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Cystadrops στην ΕΕ;

Τα διαλύματα οφθαλμικών σταγόνων μερκαπταμίνης που παρασκευάζονται στα φαρμακεία και τα νοσοκομεία χρησιμοποιούνται εδώ και αρκετά χρόνια για τη διαχείριση των οφθαλμικών συμπτωμάτων της κυστίνωσης. Επιπλέον, το Cystadrops αποδείχτηκε, σύμφωνα με τη μελέτη, αποτελεσματικό στη μείωση των κρυστάλλων κυστίνης στον κερατοειδή. Το φάρμακο βελτίωσε επίσης και άλλα συμπτώματα της κυστίνωσης, όπως την φωτοφοβία. Όσον αφορά την ασφάλεια, παρόλο που οι ανεπιθύμητες ενέργειες στους οφθαλμούς είναι πολύ συχνές, είναι συνήθως διαχειρίσιμες.

Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Cystadrops υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Cystadrops;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Cystadrops.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Cystadrops τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Cystadrops θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Cystadrops

Το Cystadrops έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις 19 Ιανουαρίου 2017.

Περισσότερες πληροφορίες για το Cystadrops διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 06-2025.