



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/687938/2016  
EMA/H/C/003769

## Резюме на EPAR за обществено ползване

---

# Cystadrops

## mercaptamine

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Cystadrops. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условия на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Cystadrops.

За практическа информация относно употребата на Cystadrops пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

### Какво представлява Cystadrops и за какво се използва?

Cystadrops е лекарство за очи за пациенти от 2-годишна възраст нагоре с 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 меркаптами́н (*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, меркаптамин, взаимодейства с цистин, като го разтвора, 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 от 2-годишна възраст нагоре с цистиноза. 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 скор 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 скор 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).

## **Какви са рисковете, свързани с Cystadrops?**

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

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

## **Защо Cystadrops е разрешен за употреба?**

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.

Комитетът по лекарствени продукти за хуманна употреба (CHMP) на Агенцията реши, че ползите от 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 да се спазват от здравните специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

### **Допълнителна информация за Cystadrops:**

Пълният текст на EPAR за Cystadrops може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). За повече информация относно лечението с Cystadrops прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Cystadrops може да се намери на уебсайта на Агенцията: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).