



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Cystadrops

μερκαπταμίνη

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Cystadrops. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Cystadrops.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη λήψη του Cystadrops, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευούνται το φύλλο οδηγιών χρήσης ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Cystadrops και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Cystadrops είναι ένα οφθαλμικό φάρμακο το οποίο χορηγείται σε ασθενείς ηλικίας 2 ετών και άνω με 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 χιτώνα (η διαφανής μεμβράνη που καλύπτει το πρόσθιο τμήμα του οφθαλμού). Το Cystadrops χορηγείται για τη μείωση της ποσότητας κρυστάλλων κυστίνης που συσσωρεύονται στον κερατοειδή χιτώνα.

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 θεραπεία πρέπει να ξεκινάει υπό την επίβλεψη γιατρού με εμπειρία στη διαχείριση της κυστίνωσης.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



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 συνεχιστεί 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 χιτώνα μπορεί να προκαλέσει σοβαρά προβλήματα όρασης. Η δραστική ουσία του Cystadrops, η 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 χιτώνα 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 ήταν στη μείωση των κρυστάλλων κυστίνης στον κερατοειδή χιτώνα κατόπιν μικροσκοπικής εξέτασης και στην ποσοτικοποίησή των κρυστάλλων βάσει της βαθμολογίας IVCM (συνεστιακή μικροσκοπία in vivo). Η βαθμολογία κυμάνθηκε από 0 έως 2 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 αποδείχθηκε αποτελεσματικότερο από το διάλυμα σύγκρισης στη μείωση του αριθμού κρυστάλλων κυστίνης στον κερατοειδή χιτώνα 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 οδήγησε επίσης και σε περιορισμό της φωτοφοβίας (δυσφορία του οφθαλμού στο έντονο φως).

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Cystadrops;

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες του Cystadrops (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα) σχετίζονται με τον οφθαλμό και περιλαμβάνουν πόνο, κνησμό και ερεθισμό του οφθαλμού, αυξημένη δακρύρροια (δακρυσμένα μάτια), θαμπή όραση και οφθαλμική υπεραιμία (κόκκινα μάτια). Οι ανεπιθύμητες αυτές ενέργειες είναι συνήθως παροδικές και ήπιες ή μέτριας έντασης.

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

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Cystadrops;

Τα διαλύματα οφθαλμικών σταγόνων μερκαπταμίνης που παρασκευάζονται εντός φαρμακείων και νοσοκομείων χρησιμοποιούνται εδώ και αρκετά χρόνια για τη διαχείριση των οφθαλμικών συμπτωμάτων της κυστίνωσης. Επιπλέον, το Cystadrops αποδείχθηκε, όπως αποδεικνύεται από τη μελέτη, αποτελεσματικό στη μείωση των κρυστάλλων κυστίνης στον κερατοειδή χιτώνα. Το φάρμακο βελτίωσε επίσης και άλλα συμπτώματα της κυστίνωσης, όπως την φωτοφοβία. Όσον αφορά την ασφάλεια, παρόλο που οι ανεπιθύμητες ενέργειες που σχετίζονται με τον οφθαλμό είναι πολύ συχνές, είναι συνήθως διαχειρίσιμες.

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Οργανισμού 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.

Λοιπές πληροφορίες για το Cystadrops

Η πλήρης ΕΡΑΡ του Cystadrops διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Cystadrops, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην ΕΡΑΡ) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Cystadrops διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.