



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumen del EPAR para el público

Cystadrops

mercaptamina

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Cystadrops. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado el medicamento y ha emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Cystadrops.

Para más información sobre el tratamiento con Cystadrops, el paciente deberá leer el prospecto (también incluido en el EPAR) o consultar a su médico o farmacéutico.

¿Qué es Cystadrops y para qué se utiliza?

Cystadrops es un medicamento oftalmológico utilizado en pacientes a partir de los dos años que padecen cistinosis. La cistinosis es una enfermedad hereditaria en la que una sustancia natural llamada cistina se acumula en el organismo y forma cristales dañinos, en particular en los riñones y en la córnea (la capa transparente situada en la parte frontal del ojo). Cystadrops se usa para reducir la concentración de cristales de cistina en la córnea.

Dado que el número de pacientes afectados por la cistinosis es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Cystadrops fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 7 de noviembre de 2008.

Cystadrops contiene el principio activo mercaptamina (también conocido como cisteamina).

¿Cómo se usa Cystadrops?

Cystadrops solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento deberá iniciarse bajo la supervisión de un médico con experiencia en el tratamiento de la cistinosis.



Se presenta en forma de colirio. La dosis recomendada es de una gota en cada ojo cuatro veces al día durante las horas de vigilia. El médico puede disminuir la dosis progresivamente a una gota al día en función de los resultados de los exámenes oculares. El tratamiento puede prolongarse a largo plazo.

Para más información, consulte el prospecto.

¿Cómo actúa Cystadrops?

El daño provocado por la acumulación de cristales de cistina dentro de las células de la córnea puede provocar graves problemas de visión. El principio activo de Cystadrops, la mercaptamina, reacciona con la cistina para disolverla y formar sustancias que se pueden eliminar de las células. Al aplicar el medicamento al ojo, la cantidad de cistina en las células de la córnea se reduce, limitando el daño ocular.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Cystadrops en los estudios realizados?

Cystadrops se ha comparado con otros colirios de mercaptamina menos concentrados en un estudio principal en el que participaron 32 pacientes a partir de dos años de edad afectados de cistinosis. El criterio principal de la eficacia se basó en la reducción de los cristales de cistina depositados en la córnea que se ven en el microscopio y se cuantifican mediante una puntuación denominada IVCM. Las puntuación oscila de 0 a 28, donde 0 corresponde a la ausencia de cristales. Al inicio del estudio los pacientes de ambos grupos obtuvieron una puntuación media de 10.

Cystadrops demostró ser más eficaz que el comparador para disminuir los cristales de cistina en la córnea transcurridos 3 meses de tratamiento: en los pacientes que utilizaron Cystadrops la puntuación IVCM disminuyó 4,6 puntos en comparación con una disminución de 0,5 puntos en pacientes que utilizaban el comparador. El tratamiento con Cystadrops también logró reducciones de la fotofobia (incomodidad del ojo ante una luz brillante)

¿Cuáles son los riesgos asociados a Cystadrops?

Los efectos adversos más frecuentes observados con Cystadrops (que pueden afectar a 1 de cada 10 pacientes) están relacionados con el ojo e incluyen dolor, hinchazón e irritación ocular, aumento del lagrimeo (ojos acuosos), visión borrosa e hiperemia ocular (enrojecimiento de los ojos). Estos efectos suelen ser de leves a moderados y no son duraderos.

Para consultar la lista completa de efectos adversos notificados y las restricciones de Cystadrops, consultar el prospecto.

¿Por qué se ha aprobado Cystadrops?

Los colirios oftálmicos de mercaptamina elaborados localmente en farmacias y hospitales se han usado durante muchos años para tratar los síntomas de la cistinosis ocular. Además, Cystadrops ha demostrado en un estudio que es eficaz para disminuir los cristales de cistina depositados en la córnea. El medicamento mejoró también otros síntomas de cistinosis como la fotofobia. En cuanto a la seguridad, aunque los efectos adversos que afectan al ojo son muy frecuentes, suelen ser fáciles de solucionar.

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia decidió que los beneficios de Cystadrops son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Cystadrops?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Cystadrops se han incluido en el Resumen de las Características del Producto y el prospecto.

Otras informaciones sobre Cystadrops

El EPAR completo de Cystadrops puede consultarse en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para más información sobre el tratamiento con Cystadrops, lea el prospecto (que también forma parte del EPAR) o consulte con su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Cystadrops se puede consultar en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation