



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR, sažetak za javnost

Cystadrops

merkaptamin

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije (EPAR) za lijek Cystadrops. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek da bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o primjeni lijeka Cystadrops.

Praktične informacije o primjeni lijeka Cystadrops bolesnici trebaju pročitati u uputi o lijeku, odnosno obratiti se svom liječniku ili ljekarniku.

Što je Cystadrops i za što se koristi?

Cystadrops je lijek za oko koji se primjenjuje u djece u dobi od dvije godine i starijih bolesnika koji boluju od cistinoze. Cistinoza je nasljedna bolest kod koje se prirodna tvar cistin nakuplja u tijelu i stvara kristale štetnog djelovanja, osobito u bubrezima i rožnici (prozirnom sloju u prednjem dijelu oka). Lijek Cystadrops primjenjuje se kako bi se smanjilo nakupljanje cistinskih kristala u rožnici.

Budući da je broj bolesnika s cistinozom nizak, ta se bolest smatra „rijetkom“ te se Cystadrops označava kao lijek za rijetke bolesti od 7. studenoga 2008.

Lijek Cystadrops sadrži djelatnu tvar merkaptamin (također poznata kao cisteamin).

Kako se Cystadrops koristi?

Lijek Cystadrops izdaje se samo na liječnički recept, a liječenje se treba započeti pod nadzorom liječnika iskusnog u liječenju cistinoze.

Lijek Cystadrops dostupan je u obliku kapi za oko. Preporučena doza je jedna kap u svako oko 4 puta na dan u prvih nekoliko sati nakon buđenja. Liječnik može postupno sniziti dozu na jednu kap na dan ovisno o rezultatima oftalmološkog pregleda. Liječenje se treba nastaviti na dulje razdoblje.

Za dodatne informacije vidjeti uputu o lijeku.

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



Kako djeluje Cystadrops?

Nakupljanje cistinskih kristala može stvoriti oštećenja u stanicama rožnice, što može izazvati ozbiljne probleme s vidom. Djelatna tvar u lijeku Cystadrops, merkaptamin, reagira s cistinom tako što ga otapa i stvara tvari koje se mogu ukloniti iz stanica. Pri primjeni lijeka u oko količina cistina u stanicama rožnice smanjuje se, čime se smanjuje stupanj oštećenja oka.

Koje su koristi lijeka Cystadrops utvrđene u ispitivanjima?

Lijek Cystadrops uspoređen je s drugom otopinom kapi za oko slabije koncentracije koja sadrži merkaptamin u jednom glavnom ispitivanju na 32 bolesnika od dvije godine starosti i starijih, koji boluju od cistinoze. Procjena glavne mjere djelotvornosti temeljila se na smanjenju cistinskih kristala u rožnici promatranih pod mikroskopom i kvantificiranih s pomoću tzv. IVCM rezultata. Rezultat se kreće u rasponu između 0 i 28, pri čemu 0 upućuje na nepostojanje kristala. Na početku ispitivanja bolesnici u obje skupine imali su prosječan rezultat 10.

Lijek Cystadrops pokazao se djelotvornijim od usporednog lijeka u smanjenju cistinskih kristala u rožnici nakon 3 mjeseca liječenja. U bolesnika koji su uzimali Cystadrops IVCM rezultat smanjen je za 4,6 boda u usporedbi sa smanjenjem od 0.5 bodova u bolesnika koji su uzimali usporedni lijek. Liječenje lijekom Cystadrops također je dovelo do smanjenja fotofobije (osjećaja nelagode u oku izazvanog jarkim svjetlom).

Koji su rizici povezani s lijekom Cystadrops?

Najčešće nuspojave zabilježene pri primjeni lijeka Cystadrops (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) povezane su s okom i uključuju bol, svrbež i iritaciju oka, pojačano suženje oka, zamagljen vid i okularnu hiperemiju (crvenilo oka). Navedene nuspojave obično su blage ili umjerene i ne traju dugo.

Potpuni popis nuspojava i ograničenja zabilježenih pri primjeni lijeka Cystadrops potražite u uputi o lijeku.

Zašto je lijek Cystadrops odobren?

Otopine kapi za oko koje sadrže merkaptamin i koje su izrađene u lokalnim ljekarnama ili bolnicama primjenjuju se već niz godina za rješavanje očnih simptoma cistinoze. Osim toga, lijek Cystadrops u ispitivanju se pokazao djelotvornim u smanjenju broja cistinskih kristala u rožnici. Primjenom lijeka također su ublaženi drugi simptomi cistinoze, kao što je fotofobija. Kad je riječ o sigurnosti, premda su nuspojave povezane s okom veoma učestale, uglavnom ih je moguće kontrolirati.

Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) pri Agenciji odlučio je da koristi lijek Cystadrops nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio njegovo odobrenje za primjenu u Europskoj uniji.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Cystadrops?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Cystadrops nalaze se u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Ostale informacije o lijeku Cystadrops

Cjeloviti EPAR za lijek Cystadrops nalazi se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Više informacija o liječenju lijekom

Cystadrops pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) odnosno obratite se svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti o lijeku Cystadrops dostupan je na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).