



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Riassunto destinato al pubblico

Cystadrops

mercaptamina

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Cystadrops. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Cystadrops.

Per informazioni pratiche sull'uso di Cystadrops i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Cystadrops?

Cystadrops è un medicinale oftalmico (per gli occhi) usato in pazienti da 2 anni di età affetti da cistinosi. La cistinosi è una malattia ereditaria caratterizzata dall'accumulo nell'organismo di una sostanza naturale chiamata cistina, che provoca la formazione di cristalli nocivi in particolare nei reni e nella cornea (la membrana trasparente che costituisce la porzione anteriore dell'occhio). Cystadrops è usato per ridurre l'accumulo dei cristalli di cistina nella cornea.

Poiché il numero di pazienti affetti da cistinosi è basso, la malattia è considerata "rara" e Cystadrops è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 7 novembre 2008.

Cystadrops contiene il principio attivo mercaptamina (nota anche come cisteamina).

Come si usa Cystadrops?

Cystadrops può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato sotto la supervisione di un medico esperto nella terapia della cistinosi.

Cystadrops è disponibile sotto forma di collirio. La dose raccomandata è pari a 1 goccia in ciascun occhio 4 volte al giorno nelle ore di veglia. La dose può essere diminuita progressivamente dal medico fino a 1 goccia al giorno in base ai risultati degli esami oftalmologici. Il trattamento non deve essere interrotto per un lungo periodo.

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



Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

Come agisce Cystadrops?

I danni derivanti dall'accumulo di cristalli di cistina all'interno delle cellule corneali possono causare gravi problemi visivi. Il principio attivo di Cystadrops, mercaptamina, reagisce con la cistina, dissolvendola e formando sostanze che possono essere eliminate dalle cellule. Quando è applicato all'occhio, la quantità di cistina presente nelle cellule della cornea si riduce e i danni oculari vengono limitati.

Quali benefici di Cystadrops sono stati evidenziati negli studi?

Cystadrops è stato confrontato con un'altra soluzione meno concentrata di collirio a base di mercaptamina in uno studio principale su 32 pazienti da 2 anni di età affetti da cistinosi. La misura principale dell'efficacia si basava sulla riduzione dei cristalli corneali di cistina osservati al microscopio e quantificati con un punteggio chiamato IVCM compreso tra 0 e 28 (dove 0 corrispondeva all'assenza di cristalli). All'inizio dello studio i pazienti di entrambi i gruppi avevano un punteggio medio pari a 10.

Cystadrops è risultato più efficace del medicinale di confronto nel ridurre i cristalli corneali di cistina dopo 3 mesi di terapia: nei pazienti trattati con Cystadrops il punteggio IVCM era diminuito di 4,6 punti, mentre in quelli trattati con il medicinale di confronto si era ridotto di 0,5 punti. La terapia con Cystadrops ha contribuito anche a ridurre la fotofobia (senso di fastidio nell'occhio associato all'esposizione a luce intensa).

Quali sono i rischi associati a Cystadrops?

Gli effetti indesiderati più comuni di Cystadrops (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono a carico dell'occhio e comprendono dolore, sensazione di prurito e irritazione oculare, lacrimazione aumentata, visione annebbiata e iperemia (arrossamento) oculare. Tali effetti sono di solito di intensità lieve o moderata e non sono duraturi.

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Cystadrops, vedere il foglio illustrativo.

Perché Cystadrops è approvato?

Le soluzioni di collirio a base di mercaptamina prodotte localmente presso farmacie o ospedali sono usate da molti anni per il trattamento dei sintomi oculari della cistinosi. Inoltre, uno studio ha mostrato che Cystadrops è efficace nel ridurre i cristalli corneali di cistina. Il medicinale ha migliorato anche altri sintomi della cistinosi come la fotofobia. Per quanto riguarda la sicurezza, gli effetti indesiderati a carico dell'occhio, pur essendo molto frequenti, sono di solito gestibili.

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che i benefici di Cystadrops sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Cystadrops?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Cystadrops sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Altre informazioni su Cystadrops

Per la versione completa dell'EPAR di Cystadrops, consultare il sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Per maggiori informazioni sulla terapia con Cystadrops, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Il riassunto del parere del comitato per i medicinali orfani relativo a Cystadrops è disponibile sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.