



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Cystadrops

merkaptaminas

Šis dokumentas yra Cystadrops Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatytų jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Cystadrops.

Praktinės informacijos apie Cystadrops vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

Kas yra Cystadrops ir kam jis vartojamas?

Cystadrops – tai akims skirtas vaistas, kuriuo gydomi pacientai nuo 2 metų amžiaus, sergantys cistinoze. Cistinozė yra paveldima liga, kuria sergant kūne, ypač inkstuose ir ragenoje (akies priekinėje dalyje esančiame skaidriame dangale) natūrali medžiaga cistinas kaupdamasi sudaro žalingus kristalus. Cystadrops vartojamas siekiant sumažinti cistino kristalų sankaupas ragenoje.

Kadangi cistinoze sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta ir 2008 m. lapkričio 7 d. Cystadrops buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Cystadrops sudėtyje yra veikliosios medžiagos merkaptamino (taip pat žinomo „cisteamino“ pavadinimu).

Kaip vartoti Cystadrops?

Cystadrops galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą reikia pradėti prižiūrint gydytojui, turinčiam cistinozės gydymo patirties.

Gaminami Cystadrops akių lašai. Rekomenduojama dozė yra 1 lašas į kiekvieną akį 4 kartus dienos metu. Gydytojas gali nuspręsti dozę sumažinti iki 1 lašo per dieną, priklausomai nuo akių patikros rezultatų. Gydymas turi būti ilgalaikis.



Daugiau informacijos pateikta pakuotės lapelyje.

Kaip veikia Cystadrops?

Cistino kristalų kaupimasis ragenos ląstelėse gali sukelti sunkių regėjimo sutrikimų. Veiklioji Cystadrops medžiaga merkaptaminas reaguoja su cistinu ir jį ištirpina, o susidariusios medžiagos gali pasišalinti iš ląstelių. Įlašinus vaisto į akį, sumažėja ragenos ląstelėse esantis cistino kiekis ir taip sumažėja akims daroma žala.

Kokia Cystadrops nauda nustatyta tyimuose?

Viename pagrindiniame tyrime su 32 pacientais (nuo 2 metų amžiaus), sergančiais cistinoze, Cystadrops buvo lyginamas su kitu mažesnės koncentracijos merkaptamino akių lašų tirpalu. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo cistino kristalų ragenoje sumažėjimas, nustatomas žiūrint per mikroskopą ir naudojant IVCM balų vertinimo sistemą. Vertinama balais nuo 0 iki 28. Nulis balų reiškia, kad kristalų nebėra. Tyrimo pradžioje abiejų grupių pacientų rodiklis buvo vidutiniškai 10 balų.

Po 3 mėnesių gydymo Cystadrops buvo veiksmingesnis už lyginamąjį vaistą mažinant cistino kristalus ragenoje: Cystadrops vartojusiems pacientams IVCM rodiklis sumažėjo 4,6 balo, palyginti su 0,5 balo lyginamąjį vaistą vartojusiems pacientams. Gydant Cystadrops taip pat sumažėjo fotofobija (akies jautrumas šviesai).

Kokia rizika siejama su Cystadrops naudojimu?

Dažniausi Cystadrops šalutiniai reiškiniai (galintys pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra susiję su akimi ir apima akies skausmą, niežulį ir dirginimą, padidėjusį ašarojimą, neryškų regėjimą ir akių hiperemiją (raudonis). Šie reiškiniai paprastai būna lengvi ar vidutinio sunkumo ir trunka neilgai.

Išsamų visų šalutinių reiškinų ir apribojimų vartojant Cystadrops sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Cystadrops buvo patvirtintas?

Vaistinėse ar ligoninėse gaminamas merkaptamino akių lašų tirpalas jau daugelį metų naudojamas akių cistinozės simptomams gydyti. Be to, viename tyrime įrodyta, kad Cystadrops veiksmingai mažina cistino kristalus ragenoje. Vaistas taip pat turėjo poveikį tokiems cistinozės simptomams, kaip fotofobija. Vertinant vaisto saugumą nustatyta, kad nors šalutinis poveikis pasireiškia labai dažnai, jį paprastai galima valdyti.

Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) nusprendė, kad Cystadrops nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Cystadrops vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Cystadrops vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kita informacija apie Cystadrops

Išsamų Cystadrops EPAR rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Daugiau informacijos apie gydymą Cystadrops rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Cystadrops santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).