



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

Cystadrops

merkaptamīns

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *Cystadrops*. Tajā ir paskaidrots, kā aģentūra ir vērtējusi šīs zāles, lai ieteiktu to reģistrāciju Eiropas Savienībā un sniegtu lietošanas nosacījumus. Tas nav paredzēts kā praktiski ieteikumi par *Cystadrops* lietošanu.

Lai saņemtu praktisku informāciju par *Cystadrops* lietošanu, pacientiem jāizlasa zāļu lietošanas instrukcija vai jāsazinās ar ārstu vai farmaceitu.

Kas ir *Cystadrops* un kāpēc tās lieto?

Cystadrops ir acīm paredzētas zāles, ko lieto pacientiem no divu gadu vecuma, kuriem ir cistinoze. Cistinoze ir iedzimta slimība, kad organismā uzkrājas dabīga viela cistīns, veidojot kaitīgus kristālus, jo īpaši nierēs un radzenē (caurspīdīga kārtā uz acs virsmas). *Cystadrops* izmanto, lai mazinātu cistīna kristālu uzkrāšanos radzenē.

Tā kā cistinozes pacientu skaits ir mazs, slimību uzskata par retu, un 2008. gada 7. novembrī *Cystadrops* tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Cystadrops satur aktīvo vielu merkaptamīnu (sauktu arī par cisteamīnu).

Kā lieto *Cystadrops*?

Cystadrops var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāuzsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi cistinozes ārstēšanā.

Cystadrops ir pieejamas acu pilienu veidā. Ieteicamā deva ir viens pilienš katrā acī, četras reizes dienā nomoda laikā. Atkarībā no acu pārbaūžu rezultātiem ārsts var pakāpeniski samazināt devu līdz vienam pilienam dienā. Ārstēšana jāturpina ilgstoši.

Plašāka informācija pieejama zāļu lietošanas instrukcijā.



Kā *Cystadrops* darbojas?

Kaitējums, cistīna kristāliem uzkrājoties radzenes šūnās, var radīt nopietnas redzes traucējumus. *Cystadrops* esošā aktīvā viela merkaptamīns reaģē ar cistīnu, to izšķīdinot un veidojot vielas, ko var izvadīt no šūnām. Iepilīnot zāles acī, cistīna daudzums radzenes šūnās samazinās, mazinot kaitējumu acij.

Kādas bija *Cystadrops* priekšrocības šajos pētījumos?

Cystadrops salīdzināja ar citu, mazāk koncentrētu merkaptamīnu saturošu acu pilienu šķīdumu vienā pamatpētījumā, iesaistot 32 pacientus (vecumā no diviem gadiem) ar cistinozi. Galvenais efektivitātes rādītājs bija cistīna kristālu samazinājums radzenē, ko noteica ar mikroskopu un kvantificēja, izmantojot *in vivo* konfokālās mikroskopijas (*IVCM*) rādītājus. Rādītāja diapazons ir no 0 līdz 28, kur 0 norāda, ka kristālu nav. Pētījuma sākumā abu grupu pacientu vidējais rādītājs bija 10.

Cystadrops izrādījās efektīvākas nekā salīdzinājumam izmantotās zāles cistīna kristālu samazināšanā radzenē pēc trim ārstēšanas mēnešiem: pacientiem, kuri lietoja *Cystadrops*, *IVCM* rādītājs samazinājās par 4,6 punktiem, savukārt pacientiem, kuri lietoja salīdzinājumam izmantotās zāles, rādītājs samazinājās par 0,5 punktiem. Ārstējot pacientus ar *Cystadrops*, samazinājās arī fotofobija (acu diskomforts spilgtā gaismā).

Kāds risks pastāv, lietojot *Cystadrops*?

Visbiežākās *Cystadrops* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir saistītas ar aci un ietver sāpes, niezi un kairinājumu acī, pastiprinātu acu asarošanu, neskaidru redzi un okulāro hiperēmiju (sarkanu aci). Šīs blakusparādības parasti ir vieglas vai vidēji smagas un nav ilgstošas.

Pilnu visu ziņoto blakusparādību sarakstu, lietojot *Cystadrops*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Kāpēc *Cystadrops* tika apstiprinātas?

Merkaptamīnu saturošus acu pilienu šķīdumus, ko uz vietas sagatavo aptiekās vai slimnīcās, izmanto jau daudzus gadus cistinozes acu simptomu ārstēšanā. Turklāt pētījumā ir pierādījies, ka *Cystadrops* efektīvi samazina cistīna kristālu skaitu radzenē. Šīs zāles arī uzlaboja citus cistinozes simptomus, piemēram, fotofobiju. Attiecībā uz drošumu, lai gan blakusparādības saistībā ar aci ir novērotas ļoti bieži, tās parasti ir viegli ārstējamas.

Aģentūras Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (*CHMP*) nolēma, ka ieguvums, lietojot *Cystadrops*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica apstiprināt šīs zāles lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Cystadrops* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā ir ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Cystadrops* lietošanu.

Cita informācija par *Cystadrops*

Pilns *Cystadrops* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lai saņemtu sīkāku informāciju par ārstēšanu ar *Cystadrops*, izlasiet zāļu lietošanas instrukciju (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinieties ar ārstu vai farmaceitu.

Retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu komitejas atzinuma kopsavilkums par *Cystadrops* ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.