



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

---

# Cystadrops

## merkaptamina

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Cystadrops. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Cystadrops.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Cystadrops należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

### Co to jest produkt Cystadrops i w jakim celu się go stosuje?

Cystadrops jest lekiem okulistycznym stosowanym u pacjentów od 2. roku życia z z cystynozą. Cystynozą to choroba dziedziczna, w której naturalna substancja o nazwie cystyna odkłada się w organizmie, tworząc szkodliwe kryształki, zwłaszcza w nerkach i rogówce (przezroczysta warstwa w przedniej części oka). Cystadrops stosuje się, aby ograniczyć odkładanie się kryształków cystyny w rogówce.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z cystynozą choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 7 listopada 2008 r. produkt Cystadrops uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Cystadrops zawiera substancję czynną merkaptaminę (zwaną także cysteaminą).

### Jak stosować produkt Cystadrops?

Cystadrops wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinno zostać rozpoczęte pod nadzorem lekarza z doświadczeniem w leczeniu cystynozy.

Lek Cystadrops jest dostępny w postaci kropli do oczu. Zalecana dawka to jedna kropla zakraplana do każdego oka 4 razy na dobę w godzinach dziennych. Lekarz może stopniowo zmniejszać dawkę do 1

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



kropli na dobę w zależności od wyników badań okulistycznych. Leczenie należy kontynuować długoterminowo.

Więcej informacji znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Jak działa produkt Cystadrops?**

Uszkodzenia spowodowane odkładaniem się kryształków cystyny wewnątrz komórek rogówki mogą powodować poważne problemy ze wzrokiem. Substancja czynna leku Cystadrops, merkaptamina, wchodzi w reakcję z cystyną, rozpuszczając ją i tworząc substancje, które można usunąć z komórek. Po podaniu leku do oka ilość cystyny w komórkach rogówki zmniejsza się, co ogranicza uszkodzenie oka.

## **Jakie korzyści ze stosowania produktu Cystadrops zaobserwowano w badaniach?**

Lek Cystadrops porównywano z innym, mniej skoncentrowanym roztworem kropli do oczu z merkaptaminą w jednym badaniu głównym z udziałem pacjentów w wieku od 2. roku życia z cystynozą. Główne kryterium oceny skuteczności oparto na redukcji kryształków cystyny w rogówce obserwowanej pod mikroskopem i ocenianej w skali o nazwie IVCM. Zakres skali to 0–28, przy czym 0 odpowiada brakowi kryształków. Na początku badania średni wynik w obu grupach pacjentów wynosił 10.

Wykazano, że w redukcji kryształków cystyny w rogówce Cystadrops był skuteczniejszy od leku porównawczego po 3 miesiącach leczenia: u pacjentów stosujących lek Cystadrops wynik IVCM był niższy o 4,6 punktu w porównaniu z wynikiem niższym o 0,5 punktu u pacjentów stosujących lek porównawczy. Stosując lek Cystadrops, uzyskano również zmniejszenie światłowstrętu (dyskomfort oczu w jaskrawym świetle).

## **Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Cystadrops?**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Cystadrops (mogące wystąpić u więcej niż 1 osoby na 10) dotyczą oka i obejmują ból, świąd i podrażnienie oka, zwiększone łzawienie, niewyraźne widzenie i przekrwienie oka (czerwone oko). Większość z tych działań niepożądanych jest przemijająca i ma nasilenie łagodne lub umiarkowane.

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Cystadrops znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Cystadrops?**

Roztwory kropli do oczu z merkaptaminą sporządzane na miejscu w aptekach lub szpitalach są stosowane od wielu lat w leczeniu objawów ocznych cystynozy. Ponadto w badaniu wykazano skuteczność leku Cystadrops w redukcji kryształków cystyny w rogówce. Lek łagodził także inne objawy cystynozy, takie jak światłowstręt. Jeżeli chodzi o bezpieczeństwo, działania niepożądane dotyczące oka, choć bardzo częste, są zazwyczaj możliwe do kontrolowania.

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Cystadrops przewyższają ryzyko, i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE.

## **Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Cystadrops?**

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Cystadrops w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

## **Inne informacje dotyczące produktu Cystadrops**

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Cystadrops znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Cystadrops należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Cystadrops znajduje się na stronie internetowej Agencji: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).