



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Resumo do EPAR destinado ao público

Cystadrops

mercaptamina

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Cystadrops. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Cystadrops.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Cystadrops, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

O que é o Cystadrops e para que é utilizado?

O Cystadrops é um medicamento ofálmico utilizado em doentes a partir dos 2 anos de idade com cistinose. A cistinose é uma doença hereditária na qual uma substância natural designada cistina se acumula no organismo criando cristais nocivos, particularmente aos rins e à córnea (o tecido transparente que se encontra na parte frontal do olho). O Cystadrops é utilizado para reduzir a acumulação de cristais na córnea.

Dado o número de doentes afetados por cistinose ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Cystadrops foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 7 de novembro de 2008.

O Cystadrops contém a substância ativa mercaptamina (também conhecida por cisteamina).

Como se utiliza o Cystadrops?

O Cystadrops só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado sob a supervisão de um médico com experiência na gestão de cistinose.

O Cystadrops encontra-se disponível sob a forma de colírio. A dose recomendada é de 1 gota em cada olho 4 vezes ao dia enquanto estiver acordado. A dose pode ser diminuída gradualmente até 1 gota



por indicação do seu médico com base nos exames oftalmológicos. O tratamento deve ser continuado a longo prazo.

Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

Como funciona o Cystadrops?

A acumulação de cristais de cistina no interior das células da córnea pode causar problemas de visão graves. A substância ativa do Cystadrops, a mercaptamina, reage com a cistina dissolvendo-a e formando substâncias que possam ser removidas das células. Quando o medicamento é aplicado no olho, a quantidade de cistina nas células da córnea é reduzida, limitando os danos oculares.

Quais os benefícios demonstrados pelo Cystadrops durante os estudos?

O Cystadrops foi comparado com outra solução oftálmica com mercaptamina a uma concentração inferior num estudo principal que incluiu 32 doentes com mais de 2 anos de idade com cistinose. O principal parâmetro de eficácia baseou-se na redução dos cristais de cistina na córnea, observada a microscópio e quantificada segundo uma pontuação chamada Pontuação IVCM. A pontuação varia entre 0 e 28, sendo que 0 corresponde à inexistência de cristais. No início do estudo, os doentes de ambos os grupos apresentaram uma pontuação média de 10.

O Cystadrops demonstrou ser mais eficaz do que o medicamento de comparação na redução dos cristais de cistina na córnea após 3 meses de tratamento: nos doentes que utilizaram o Cystadrops, a pontuação IVCM diminuiu 4,6 pontos comparativamente a um decréscimo de 0,5 pontos nos doentes que utilizaram o medicamento de comparação. O tratamento com o Cystadrops também produziu reduções da fotofobia (desconforto do olho quando exposto a luz forte).

Quais são os riscos associados ao Cystadrops?

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Cystadrops (observados em mais de 1 em cada 10 pessoas) estão relacionados com o olho e incluem dor, comichão e irritação no olho, aumento da lacrimação (olhos lacrimejantes), visão turva e hiperémia ocular (olho vermelho). Estes efeitos são geralmente ligeiros ou moderados e passageiros.

Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização relativamente ao Cystadrops, consulte o Folheto Informativo.

Por que foi aprovado o Cystadrops?

As soluções oculares contendo mercaptamina fabricadas em farmácias ou hospitais são utilizadas há vários anos para gerir os sintomas oculares da cistinose. Além disso, o Cystadrops demonstrou, num estudo, ser eficaz na redução dos cristais de cistina na córnea. O medicamento melhorou também outros sintomas da cistinose, tais como a fotofobia. Relativamente à segurança, embora os efeitos secundários relacionados com o olho sejam muito comuns, são geralmente controláveis.

O Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) da Agência concluiu que os benefícios do Cystadrops são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Cystadrops?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz do Cystadrops.

Outras informações sobre o Cystadrops

O EPAR completo relativo ao Cystadrops pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mais informações sobre o tratamento com o Cystadrops, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Cystadrops pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.