



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Cystadrops

mercaptamină

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Cystadrops. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Cystadrops.

Pentru informații practice privind utilizarea Cystadrops, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

Ce este Cystadrops și pentru ce se utilizează?

Cystadrops este un medicament pentru ochi utilizat la pacienți cu vârsta de 2 ani și peste, care au cistinoză. Cistinoza este o boală ereditară, în care o substanță naturală numită cistină se acumulează în organism formând cristale dăunătoare, în special în rinichi și în cornee (stratul transparent din fața ochiului). Cystadrops se utilizează pentru a reduce acumularea de cristale de cistină din cornee.

Din cauza numărului mic de pacienți cu cistinoză, boala este considerată „rară”, iar Cystadrops a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 7 noiembrie 2008.

Cystadrops conține substanța activă mercaptamină (numită și cisteamină).

Cum se utilizează Cystadrops?

Cystadrops se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat sub supravegherea unui medic cu experiență în tratamentul cistinozei.

Medicamentul este disponibil sub formă de picături oftalmice. Doza recomandată este de o picătură în fiecare ochi, de 4 ori pe zi, în timpul orelor de veghe. Medicul poate să scadă treptat doza până la o picătură pe zi în funcție de rezultatele examinărilor oftalmologice. Tratamentul trebuie continuat pe termen lung.

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



Pentru mai multe informații, citiți prospectul.

Cum acționează Cystadrops?

Lezarea cristalelor de cistină în interiorul celulelor corneene poate cauza tulburări de vedere grave. Substanța activă din Cystadrops, mercaptamina, intră în reacție cu cistina pentru a o dizolva și pentru a forma substanțe care să poată fi eliminate din celule. La aplicarea medicamentului la nivelul ochiului, cantitatea de cistină din celulele corneei scade, limitând gradul de lezare a ochiului.

Ce beneficii a prezentat Cystadrops pe parcursul studiilor?

Cystadrops a fost comparat cu o soluție de picături oftalmice, mai puțin concentrată, pe bază de mercaptamină, într-un studiu principal care a cuprins 32 de pacienți cu vârsta de 2 ani și peste, diagnosticați cu cistinoză. Principala măsură de eficacitate s-a bazat pe reducerea cristalelor corneene de cistină astfel cum au fost observate la microscop și cuantificate pe baza unui scor numit scorul IVCM. Scorul se situează între 0 și 28, unde 0 înseamnă „fără cristale”. La începutul studiului, pacienții din ambele grupuri au avut un scor mediu de 10.

Cystadrops s-a dovedit a fi mai eficace decât medicamentul de comparație în ceea ce privește scăderea cristalelor corneene de cistină după 3 luni de tratament: la pacienții care au utilizat Cystadrops, scorul ICVM a scăzut cu 4,6 puncte în comparație cu o scădere de 0,5 puncte la pacienții care au utilizat medicamentul de comparație. Tratamentul cu Cystadrops a dus și la reduceri ale fotofobiei (disconfortul ochiului la lumină puternică).

Care sunt riscurile asociate cu Cystadrops?

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Cystadrops (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt în legătură cu ochiul și includ durere, mâncărimi și iritație la nivelul ochilor, lăcrimare crescută (ochi apoși), vedere încețoșată și hiperemie oculară (înroșirea ochilor). De obicei, aceste reacții sunt ușoare sau moderate și nu sunt de durată.

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Cystadrops, citiți prospectul.

De ce a fost aprobat Cystadrops?

Soluțiile de picături oftalmice pe bază de mercaptamină, preparate local în farmacii sau spitale, sunt utilizate de mulți ani pentru tratamentul simptomelor oculare de cistinoză. Mai mult, într-un studiu s-a dovedit că Cystadrops este eficace în scăderea cristalelor corneene de cistină. Medicamentul a ameliorat și alte simptome de cistinoză, precum fotofobia. În ceea ce privește siguranța, deși reacțiile adverse la nivelul ochilor sunt foarte frecvente, de obicei acestea sunt tratabile.

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a hotărât că beneficiile Cystadrops sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Cystadrops?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Cystadrops, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Alte informații despre Cystadrops

EPAR-ul complet pentru Cystadrops este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Cystadrops, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Cystadrops este disponibil pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).