



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

Cystadrops

merkaptamín

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Cystadrops. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Cystadrops.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Cystadrops, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Čo je liek Cystadrops a na čo sa používa?

Cystadrops je očný liek používaný u pacientov od dvoch rokov, ktorí majú cystinózu. Cystinóza je dedičné ochorenie, pri ktorom sa prirodzená látka nazývaná cystín ukladá v tele a vytvára škodlivé kryštály, najmä v obličkách a rohovke (priesvitná vrstva pred okom). Liek Cystadrops sa používa na zmiernenie ukladania kryštálov cystínu v rohovke.

Keďže je počet pacientov s cystinózou nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Cystadrops 7. novembra 2008 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Liek Cystadrops obsahuje účinnú látku merkaptamín (známy aj ako cysteamín).

Ako sa liek Cystadrops používa?

Výdaj lieku Cystadrops je viazaný na lekársky predpis a liečba sa má začať pod dohľadom lekára, ktorý má skúsenosti s liečbou cystinózy.

Liek Cystadrops je dostupný ako očná instilácia. Odporúčaná dávka je 1 kvapka do každého oka štyrikrát denne počas hodín bdenia. Lekár môže dávku postupne znížiť na 1 kvapku denne, a to v závislosti od výsledkov očných vyšetrení. Liečba sa má vykonávať dlhodobo.

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



Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Akým spôsobom liek Cystadrops účinkuje?

Poškodenie v dôsledku ukladania kryštálov cystínu v bunkách rohovky môže spôsobiť vážne problémy s videním. Účinná látka lieku Cystadrops, merkaptamín, reaguje s cystínom a rozpúšťa ho, pričom sa vytvárajú látky, ktoré môžu byť z buniek odstránené. Keď sa liek aplikuje do oka, množstvo cystínu v bunkách rohovky sa znižuje, čo obmedzuje rozsah poškodenia oka.

Aké prínosy lieku Cystadrops boli preukázané v štúdiách?

V jednej hlavnej štúdii, do ktorej bolo zapojených 32 pacientov od dvoch rokov s cystinózou, sa liek Cystadrops porovnával s inou očnou roztokovou instiláciou v nižšej koncentrácii. Hlavné meradlo účinnosti bolo založené na znížení množstva kryštálov cystínu v rohovke pozorované mikroskopicky a určené množstva za použitia skóre nazývaného skóre IVCM. Skóre sa pohybuje v rozpätí od 0 do 28, pričom číslo 0 zodpovedá stavu bez výskytu kryštálov. Na začiatku štúdie mali pacienti v oboch skupinách priemerné skóre 10.

Preukázalo sa, že liek Cystadrops bol pri znižovaní množstva kryštálov cystínu po 3 mesiacoch liečby účinnejší ako porovnávací liek: u pacientov používajúcich liek Cystadrops sa skóre IVCM znížilo o 4,6 bodov v porovnaní so znížením o 0,5 bodov u pacientov používajúcich porovnávací liek. Liečba liekom Cystadrops viedla takisto k zmierneniu fotofóbie (zvýšenej citlivosti na svetlo).

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Cystadrops?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Cystadrops (ktoré môžu postihnúť viac než 1 osobu z 10) sa týkajú očí a zahŕňajú bolesť, svrbenie a podráždenie oka, zvýšenú lakrimáciu (vodnaté oči), rozmazané videnie a očnú hyperémiu (začervenanie oka). Tieto účinky sú zvyčajne mierne alebo stredne závažné a nepretrvávajú dlhšie obdobie.

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Cystadrops a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Prečo bol liek Cystadrops povolený?

Merkaptamínové očné roztokové instilácie, ktorá sa pripravovali lokálne v lekárňach alebo v nemocniciach sa používajú už niekoľko rokov na liečbu očných symptómov cystinózy. Okrem toho sa v štúdii preukázalo, že liek Cystadrops je účinný pri znižovaní množstva kryštálov cystínu v rohovke. Tento liek zlepšil aj iné symptómy cystinózy, napr. fotofóbiu. Pokiaľ ide o bezpečnosť, napriek tomu, že vedľajšie účinky týkajúce sa oka sú veľmi časté, zvyčajne sú zvládnuteľné.

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry rozhodol, že prínosy lieku Cystadrops sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a odporučil udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Cystadrops?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Cystadrops boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Ďalšie informácie o lieku Cystadrops

Úplné znenie správy EPAR o lieku Cystadrops sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete viac informácií o liečbe liekom Cystadrops, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho lekára, resp. alebo lekárnika.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Cystadrops sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).