



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*merkaptamiin*)

Ülevaade ravimist Cystadrops ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Cystadrops ja milleks seda kasutatakse?

Cystadrops on silmaravim, mida kasutatakse vähemalt 6-kuulistel tsüstinoosiga patsientidel. Tsüstinoos on pärilik haigus, mille korral organismi koguneb looduslikku ainet tsüstiini, tekitades kahjustavaid kristalle, eelkõige neerudes ja sarvkestas (läbipaistev kiht silma eesosas). Cystadropsiga vähendatakse tsüstiinikristallide kogunemist sarvkesta.

Et tsüstinoosiga patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Cystadrops 7. novembril 2008 harvikravimiks.

Cystadrops sisaldab toimeainet merkaptamiini (tsüsteamiini).

Kuidas Cystadropsi kasutatakse?

Cystadrops on retseptiravim. Ravi peab alustama tsüstinoosi ravis kogenud arsti järelevalve all.

Cystadropsi turustatakse silmatilkadena. Soovitav annus on 1 tilka kummassegi silma 4 korda ööpäevas ärkveloleku ajal. Arst võib silmade seisundi kontrollimise tulemusel vähendada annust järkjärgult 1 tilgani ööpäevas. Ravi peab olema pikaajaline.

Üksikasjalik teave on pakendi infolehel.

Kuidas Cystadrops toimib?

Sarvkesta rakkudes kogunenud tsüstiinikristallide tekitatavad kahjustused võivad põhjustada raskeid nägemisprobleeme. Cystadropsis toimeainena sisalduv merkaptamiin reageerib tsüstiiniga, lahustades seda ja moodustades aineid, mida saab rakkudest eemaldada. Ravimi manustamisel silma väheneb sarvkesta rakkudes sisalduva tsüstiini kogus, mis vähendab silmakahjustusi.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



© European Medicines Agency, 2025. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Mis on uuringute põhjal Cystadropsi kasulikkus?

Cystadropsi võrreldi ühes põhiuuringus teise, väiksemas kontsentratsioonis merkaptamiini sisaldava silmatilkade lahusega. Uuringus osales 32 vähemalt 2-aastast tsüstinoosiga patsienti. Efektiivsuse põhinäitaja oli sarvkesta mikroskoopuuringus nähtavate tsüstiinikristallide sisalduse vähenemine, mida mõõdeti IVCM-skooriga. Skoorivahemik on 0–28, kus 0 tähendab kristallide puudumist. Uuringu alguses oli mõlema uuringurühma patsientide keskmine skoor 10. Uuringus tõendati, et Cystadrops oli 3-kuulise ravi järel sarvkestas esinevate tsüstiinikristallide sisalduse vähendamisel võrdlusravimist efektiivsem: IVCM-skoor vähenes Cystadropsi uuringurühma patsientidel 4,6 punkti võrra ja võrdlusravimi rühmas 0,5 punkti võrra. Cystadropsi-raviga vähenes ka fotofoobia (valguskartus, silma ebamugavustunne eredas valguses).

Viielt alla 2-aastaselt lapselt saadud lisaandmed näitasid, et Cystadrops aitab vähendada tsüstiinikristallide kogunemist sarvkesta vähemalt 6-kuustel lastel. Lisaks tõendati, et Cystadropsi ohutus lastel on sarnane täiskasvanutel täheldatuga.

Mis on Cystadropsi riskid?

Cystadropsi kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Cystadropsi kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on silmakõrvalnähud, näiteks silmavalu, -sügelus ja -ärritus, suurenenud pisaravoolus, nägemise ähmastumine ja okulaarne hüperemia (silmapunetus). Need kõrvalnähud on tavaliselt nõrgad kuni mõõdukad ning ajutised.

Miks Cystadrops ELis heaks kiideti?

Tsüstinoosi silmasümptomite raviks on aastaid kasutatud merkaptamiini sisaldavaid silmatilkade lahuseid, mida valmistatakse kohapeal apteegis. Lisaks on uuringuga tõendatud, et Cystadrops on efektiivne sarvkestas esinevate tsüstiinikristallide sisalduse vähendamisel. Ravim leevendas ka muid tsüstinoosi sümptomeid, näiteks fotofoobiat. Kuigi Cystadropsi silmakõrvalnähud on väga tavalised, on need tavaliselt talutavad.

Seetõttu otsustas Euroopa Ravimiamet, et Cystadropsi kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas ravimi kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita.

Mis meetmeid võetakse, et tagada Cystadropsi ohutu ja efektiivne kasutamine?

Cystadropsi ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Cystadropsi kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Cystadropsi oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Cystadropsi kohta

Cystadrops on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis, 19. jaanuaril 2017.

Lisateave Cystadropsi kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 06-2025.