



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*merkaptamiini*)

Yleistiedot Cystadropsista sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Cystadrops on ja mihin sitä käytetään?

Cystadrops on silmälääke, jota käytetään vähintään 6 kuukauden ikäisillä potilailla, joilla on kystinoosi (kystiinin aineenvaihdunnan sairaus). Kystinoosi on perinnöllinen sairaus, jossa elimistössä muodostuva luonnollinen kystiini-niminen aine kiteytyy ja vahingoittaa etenkin munuaisia ja sarveiskalvoa (läpinäkyvä kerros silmän etuosassa). Cystadropsia käytetään vähentämään kystiinikiteiden muodostumista sarveiskalvolla.

Koska kroonista kystinoosia sairastavia potilaita on vähän, tauti katsotaan harvinaiseksi, ja Cystadrops nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 7. marraskuuta 2008.

Cystadropsin vaikuttava aine on merkaptamiini (tunnetaan myös kysteamiinina).

Miten Cystadropsia käytetään?

Cystadrops-valmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoito on aloitettava sellaisen lääkärin valvonnassa, jolla on kokemusta kystinoosin hoidosta.

Cystadropsia on saatavana silmätippoina. Suositusannos on 1 tippa molempiin silmiin 4 kertaa vuorokaudessa valvellaoloaikana. Lääkäri voi pienentää annostusta vähitellen 1 tippaan vuorokaudessa riippuen silmätutkimusten tuloksista. Hoidon on jatkuttava pitkään.

Lisätietoja on pakkausselosteessa.

Miten Cystadrops vaikuttaa?

Vauriot kystiinikiteiden muodostumisesta sarveiskalvon solujen sisälle voivat aiheuttaa vakavia näköongelmia. Cystadropsin vaikuttava aine, merkaptamiini, reagoi kystiinin kanssa liuottaen sitä ja muodostaen aineita, jotka voivat poistua soluista. Kun lääkettä laitetaan silmään, kystiinin määrä sarveiskalvon soluissa vähenee, mikä vähentää silmän vaurioitumista.

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.

Mitä hyötyä Cystadropsista on havaittu tutkimuksissa?

Cystadropsia on verrattu toiseen vähemmän väkevään merkaptamiinia sisältävään silmätippaliuokseen yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 32 yli 2-vuotiaasta kystinoosipotilasta. Tehon pääasiallinen mitta perustui kystiinikiteiden vähenemiseen sarveiskalvolla mikroskooppitutkimuksen perusteella ja määritettynä ns. IVCN-pisteitä käyttäen. Pisteet annettiin asteikolla 0–28, ja 0 pistettä tarkoittaa, ettei kiteitä ole. Tutkimuksen alussa potilailla kahdessa ryhmässä oli keskimäärin 10 pistettä. Cystadropsin osoitettiin olevan tehokkaampi kuin vertailulääke kystiinikiteiden vähentämisessä sarveiskalvolla 3 kuukauden hoidon jälkeen: Cystadropsia käyttäneiden potilaiden IVCN-pisteet vähenivät 4,6 pistettä, kun vähenemä vertailulääkettä saaneilla potilailla oli 0,5 pistettä. Cystadrops-hoito vähensi myös valonarkuutta (kirkkaassa valossa silmässä tuntuva epämukavuus).

Lisätiedot viidestä alle 2-vuotiaasta lapsesta osoittivat, että Cystadrops voi vähentää sarveiskalvon kystiinikidekertymiä vähintään 6 kuukauden ikäisillä lapsilla. Lisäksi osoitettiin, että Cystadropsin turvallisuus lapsilla on samanlainen kuin aikuisilla.

Mitä riskejä Cystadrops-valmisteeseen liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Cystadropsin ilmoitetuista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Cystadropsin yleisimmät haittavaikutukset (joita voi olla useammalla kuin 1 henkilöllä 10:stä) liittyvät silmiin, ja niitä ovat kipu, kutina ja ärsytys silmässä, lisääntynyt lakrimaatio (kyynelten erittyminen) näön sumentuminen ja silmän verekyys (silman punaisuus). Haittavaikutukset ovat yleensä lieviä tai kohtalaisia ja lyhytkestoisia.

Miksi Cystadrops on hyväksytty EU:ssa?

Paikallisissa apteekeissa tai sairaaloissa merkaptamiinista tehtyjä silmätippaliuoksia on käytetty useita vuosia kystinoosin aiheuttamien silmäoireiden hoitoon. Cystadropsin on lisäksi osoitettu tutkimuksissa vähentävän tehokkaasti kystiinikiteitä sarveiskalvolla. Lääke paransi myös muita kystinoosin oireita, kuten valonarkuutta. Mitä tulee turvallisuuteen, silmiin liittyvät haittavaikutukset ovat hyvin yleisiä mutta usein hallittavissa.

Tämän johdosta Euroopan lääkevirasto katsoi, että Cystadropsin hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli, että se hyväksytään käyttöön EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Cystadropsin turvallinen ja tehokas käyttö?

Cystadropsin turvallisen ja tehokkaan käytön varmistamiseksi valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty suosituksia ja varoituksia terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettavaksi.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Cystadropsin käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Cystadropsista ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muuta tietoa Cystadropsista

Cystadrops sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan 19. tammikuuta 2017.

Lisätietoja Cystadropsista on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 06-2025.