



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*merkaptamin*)

A Cystadrops-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Cystadrops és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Cystadrops 6 hónapos kortól cisztinózisban szenvedő betegeknél alkalmazott szemgyógyszer. A cisztinózis egy örökletes betegség, amely során a cisztin nevű természetes anyag felhalmozódik a szervezetben és káros kristályokat hoz létre, különösen a vesékben és a szaruhártyán (a szem előtti átlátszó réteg). A Cystadrops-ot a szaruhártyán lerakódó cisztinkristályok mennyiségének csökkentésére alkalmazzák.

Mivel a cisztinózisban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Cystadrops-ot 2008. november 7-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

A Cystadrops hatóanyagként merkaptamint (más néven ciszteamin) tartalmaz.

Hogyan kell alkalmazni a Cystadrops-ot?

A Cystadrops csak receptre kapható, és a kezelést a cisztinózis kezelésében tapasztalt orvos felügyelete mellett kell megkezdeni.

A Cystadrops szemcsepp formájában kerül forgalomba. Az ajánlott adag egy-egy csepp mindkét szembe, naponta négyszer, az ébrenléti órákban beadva. A szemészeti vizsgálat eredményeitől függően a kezelőorvos fokozatosan napi egy cseppre csökkentheti az adagot. A kezelés hosszú távon alkalmazandó.

További információ a betegtájékoztatóban található.

Hogyan fejti ki hatását a Cystadrops?

A cisztinkristályok felhalmozódása a szaruhártya sejtjeiben súlyos látási problémákat okozhat. A Cystadrops hatóanyaga, a merkaptamin reakcióba lép a cisztinnel, feloldja azt, és olyan anyagokat

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



képez, amelyek eltávolíthatók a sejtekből. A gyógyszer szemben történő alkalmazásakor a cisztin mennyisége a szaruhártya sejteiben csökken, és ez korlátozza a szem károsodásának mértékét.

Milyen előnyei voltak a Cystadrops alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Cystadrops-ot egy fő vizsgálatban 32, cisztinózisban szenvedő, 2 éves és idősebb beteg bevonásával egy másik, kevésbé koncentrált, merkaptamint tartalmazó szemcseppoldattal hasonlították össze. A hatásosság fő mutatója a szaruhártyán lerakódó cisztinkristályok mennyiségének csökkenésén alapult, amelyet mikroszkóppal ellenőriztek és az úgynevezett IVCN pontszámmal mérték. A pontértékek 0-tól 28-ig terjednek, és a 0 a kristályok jelenlétének hiányát jelenti. A vizsgálat kezdetekor a betegek átlagos pontszáma mindkét csoportban 10 volt. A Cystadrops 3 hónap kezelést követően hatékonyabbnak bizonyult az összehasonlító készítménynél a szaruhártyán lerakódó cisztinkristályok mennyiségének csökkentésében: a Cystadrops-szal kezelt betegeknél az IVCN pontszám 4,6 ponttal csökkent, szemben az összehasonlító készítmény által előidézett 0,5 pontos csökkenéssel. A Cystadrops-kezelés a fotofóbia (fényérzékenység) enyhüléséhez is vezetett.

Öt, 2 évesnél fiatalabb gyermektől származó további adatok arra utaltak, hogy a Cystadrops 6 hónapos kortól képes csökkenteni a szaruhártyán lerakódó cisztinkristályok mennyiségét. Emellett a Cystadrops biztonságossága gyermekeknél hasonlóan bizonyult a felnőtteknél tapasztaltnak.

Milyen kockázatokkal jár a Cystadrops alkalmazása?

A Cystadrops alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegájékoztatóban található.

A Cystadrops leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a szemhez kapcsolódnak, és közéjük tartozik a szemfájdalom, a szemviszketés és a szemirritáció, a fokozott könnyezés, a homályos látás és a szemvörösség (okuláris hiperémia). Ezek a mellékhatások általában enyhe vagy közepes súlyosságúak, és idővel elmúlnak.

Miért engedélyezték a Cystadrops forgalomba hozatalát az EU-ban?

Gyógyszertárakban vagy kórházakban helyben elkészített merkaptamin tartalmú szemcseppoldatokat évek óta alkalmaznak a cisztinózis szemet érintő tüneteinek kezelésére. Emellett a Cystadrops egy vizsgálatban hatásosnak bizonyult a szaruhártyán lerakódó cisztinkristályok mennyiségének csökkentésében. A gyógyszer a cisztinózis egyéb tüneteit, így például a fotofóbiát is enyhítette. A biztonságosságot illetően, bár a szemet érintő mellékhatások nagyon gyakoriak, rendszerint kezelhetők is.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Cystadrops alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Cystadrops biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Cystadrops biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegájékoztatóban.

A Cystadrops alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Cystadrops alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Cystadrops-szal kapcsolatos egyéb információ

2017. január 19-én a Cystadrops az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Cystadrops-szal kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 06-2025.