



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*mercaptamina*)

Sintesi di Cystadrops e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Cystadrops e per cosa si usa?

Cystadrops è un medicinale per gli occhi usato in pazienti a partire dai 6 mesi di età affetti da cistinosi. La cistinosi è una malattia ereditaria caratterizzata dall'accumulo nell'organismo di una sostanza naturale denominata cistina, che provoca la formazione di cristalli nocivi in particolare nei reni e nella cornea (la membrana trasparente che costituisce la porzione anteriore dell'occhio). Cystadrops è usato per ridurre l'accumulo dei cristalli di cistina nella cornea.

Poiché il numero di pazienti affetti da cistinosi è basso, la malattia è considerata "rara" e Cystadrops è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 7 novembre 2008.

Cystadrops contiene il principio attivo mercaptamina (nota anche come cisteamina).

Come si usa Cystadrops?

Cystadrops può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato sotto la supervisione di un medico esperto nella gestione della cistinosi.

Cystadrops è disponibile sotto forma di collirio. La dose raccomandata è di 1 goccia in ciascun occhio 4 volte al giorno nelle ore di veglia. La dose può essere diminuita progressivamente dal medico fino a 1 goccia al giorno in base ai risultati degli esami oftalmologici. Cystadrops è indicato per trattamenti a lungo termine.

Per ulteriori informazioni, vedere il foglio illustrativo.

Come agisce Cystadrops?

I danni derivanti dall'accumulo di cristalli di cistina all'interno delle cellule corneali possono causare gravi problemi visivi. Il principio attivo di Cystadrops, mercaptamina, reagisce con la cistina dissolvendola e formando sostanze che possono essere eliminate dalle cellule. Quando è applicato

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



all'occhio, la quantità di cistina presente nelle cellule della cornea si riduce e i danni oculari vengono limitati.

Quali benefici di Cystadrops sono stati evidenziati negli studi?

Cystadrops è stato confrontato con un'altra soluzione meno concentrata di collirio a base di mercaptamina in uno studio principale su 32 pazienti da 2 anni di età affetti da cistinosi. La principale misura dell'efficacia si basava sulla riduzione dei cristalli di cistina nella cornea osservata al microscopio e quantificata in base a un punteggio denominato IVCN. Il punteggio va da 0 a 28, laddove 0 corrisponde all'assenza di cristalli. All'inizio dello studio i pazienti di entrambi i gruppi avevano un punteggio medio pari a 10. Dopo 3 mesi di trattamento Cystadrops è risultato più efficace del medicinale di confronto nel ridurre i cristalli di cistina nella cornea: nei pazienti trattati con Cystadrops il punteggio IVCN era diminuito di 4,6 punti, mentre in quelli trattati con il medicinale di confronto si era ridotto di 0,5 punti. Il trattamento con Cystadrops ha contribuito anche a ridurre la fotofobia (senso di fastidio nell'occhio se esposto a luce intensa).

Da ulteriori dati relativi a 5 bambini di età inferiore a 2 anni è emerso che Cystadrops è in grado di ridurre i depositi di cristalli di cistina nella cornea anche nei bambini a partire dai 6 mesi di età. Inoltre, la sicurezza di Cystadrops nei bambini si è dimostrata simile a quella osservata negli adulti.

Quali sono i rischi associati a Cystadrops?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Cystadrops, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Cystadrops (che possono riguardare più di 1 persona su 10) sono a carico dell'occhio e comprendono dolore, sensazione di prurito e irritazione, lacrimazione aumentata (occhi acquosi), visione annebbiata e iperemia (arrossamento) oculare. Tali effetti sono di solito di intensità lieve o moderata e non sono duraturi.

Perché Cystadrops è autorizzato nell'UE?

Le soluzioni di collirio a base di mercaptamina prodotte localmente presso farmacie o ospedali sono usate da molti anni per il trattamento dei sintomi oculari della cistinosi. Inoltre, uno studio ha evidenziato che Cystadrops è efficace nel ridurre i cristalli di cistina nella cornea. Il medicinale ha attenuato anche altri sintomi della cistinosi come la fotofobia. Per quanto riguarda la sicurezza, gli effetti indesiderati a carico dell'occhio, pur molto comuni, sono di solito gestibili.

L'Agenzia europea per i medicinali ha pertanto deciso che i benefici di Cystadrops sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Cystadrops?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Cystadrops sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Cystadrops sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Cystadrops sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Cystadrops

Cystadrops ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 19 gennaio 2017.

Ulteriori informazioni su Cystadrops sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 06-2025.