



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*merkaptaminas*)

Cystadrops apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Cystadrops ir kam jis vartojamas?

Cystadrops – tai akims skirtas vaistas, kuriuo gydomi pacientai nuo 6 mėnesių amžiaus, sergantys cistinoze. Cistinozė yra paveldima liga, kuria sergant organuose, ypač inkstuose ir ragenoje (akies priekinę dalį gaubiančiame skaidriame sluoksnyje), susidaro žalingos natūralios medžiagos cistino kristalų sankaupos. Cystadrops vartojamas siekiant sumažinti cistino kristalų sankaupas ragenoje.

Kadangi cistinoze sergančių pacientų nėra daug, ši liga laikoma reta ir 2008 m. lapkričio 7 d. Cystadrops buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.

Cystadrops sudėtyje yra veikliosios medžiagos merkaptamino (dar vadinamo cisteaminu).

Kaip vartoti Cystadrops?

Cystadrops galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą reikia pradėti prižiūrint gydytojui, turinčiam cistinozės gydymo patirties.

Gaminami Cystadrops akių lašai. Rekomenduojama dozė yra po 1 lašą į kiekvieną akį 4 kartus per dieną dienos metu. Gydytojas, atsižvelgdamas į akių patikros rezultatus, gali nuspręsti dozę sumažinti iki 1 lašo per dieną. Gydymas turi būti ilgalais.

Daugiau informacijos pateikta pakuotės lapelyje.

Kaip veikia Cystadrops?

Cistino kristalų kaupimasis ragenos ląstelėse gali sukelti sunkių regėjimo sutrikimų. Veiklioji Cystadrops medžiaga merkaptaminas reaguoja su cistinu ir jį ištirpina, o susidariusios medžiagos gali pasišalinti iš ląstelių. Įlašinus vaisto į akį, sumažėja ragenos ląstelėse esantis cistino kiekis, o kartu ir akims daroma žala.

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.

Kokia Cystadrops nauda nustatyta tyrimų metu?

Viename pagrindiniame tyrime su 32 cistinoze sergančiais pacientais (vyresniems kaip 2 metų amžiaus), Cystadrops buvo lyginamas su kitu mažesnės koncentracijos merkaptamino akių lašų tirpalu. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo cistino kristalų kiekio ragenoje sumažėjimas, nustatomas žiūrint per mikroskopą pagal bendrąjį *in vivo* konfokalinės mikroskopijos (angl. *In-Vivo Confocal Microscopy*, IVCN) rodiklį, taikant vertinimo skalę nuo 0 iki 28 balų, kai nulis reiškia, kad kristalų nebėra. Tyrimo pradžioje abiejų grupių pacientų vidutinis rodiklis buvo 10 balų. Po 3 mėnesių gydymo nustatyta, kad Cystadrops veiksmingiau už lyginamąjį vaistą sumažino cistino kristalų kiekį ragenoje: Cystadrops vartojusiems pacientams IVCN rodiklis sumažėjo 4,6 balo, palyginti su 0,5 balo lyginamąjį vaistą vartojusiems pacientams. Gydant Cystadrops taip pat sumažėjo fotofobija (akies jautrumas šviesai).

Papildomi penkių jaunesnių nei 2 metų vaikų duomenys parodė, kad Cystadrops gali sumažinti cistino kristalų sankaupą ragenoje vyresniems kaip 6 mėnesių amžiaus vaikams. Be to, nustatyta, kad Cystadrops saugumas jaunesniems nei 6 mėnesių vaikams yra panašus į saugumą suaugusiesiems.

Kokia rizika susijusi su Cystadrops vartojimu?

Išsamų visų šalutinių reiškinių ir apribojimų vartojant Cystadrops sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Cystadrops šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra susijęs su akimis ir yra akių skausmas, niežėjimas ir sudirginimas, ašarojimas, neryškus matymas ir akių hiperemija (paraudimas). Šie reiškiniai paprastai būna lengvi ar vidutinio sunkumo ir trunka neilgai.

Kodėl Cystadrops buvo registruotas ES?

Vaistinėse ar ligoninėse paruošiamas į akį lašinamas merkaptamino tirpalas jau daug metų vartojamas akių cistinozės simptomams gydyti. Be to, viename tyrime įrodyta, kad Cystadrops veiksmingai mažina cistino kristalų kiekį ragenoje. Vaistas taip pat turėjo poveikį tokiems cistinozės simptomams, kaip fotofobija. Vertinant vaisto saugumą nustatyta, kad nors šalutinis poveikis pasireiškia labai dažnai, paprastai jį galima valdyti.

Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Cystadrops nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Cystadrops vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Cystadrops vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Cystadrops vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Cystadrops šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Cystadrops

Cystadrops buvo registruotas visoje ES 2017 m. sausio 19 d.

Daugiau informacijos apie Cystadrops rasite Agentūros tinklalapyje adresu:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2025-06.