



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*merkaptamīns*)

Cystadrops pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Cystadrops* un kāpēc tās lieto?

Cystadrops ir acīm paredzētas zāles, ko lieto pacientiem no sešu mēnešu vecuma, kuriem ir cistinoze. Cistinoze ir iedzimta slimība, kad organismā uzkrājas dabīga viela cistīns, veidojot kaitīgus kristālus, jo īpaši nierēs un radzenē (caurspīdīga kārtā uz acs virsmas). *Cystadrops* lieto, lai mazinātu cistīna kristālu uzkrāšanos radzenē.

Tā kā cistinozes pacientu skaits ir mazs, slimību uzskata par retu, un 2008. gada 7. novembrī *Cystadrops* tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai.

Cystadrops satur aktīvo vielu merkaptamīnu (sauktu arī par cisteamīnu).

Kā lieto *Cystadrops*?

Cystadrops var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāuzsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi cistinozes ārstēšanā.

Cystadrops ir pieejamas acu pilienu veidā. Ieteicamā deva ir viens pilienš katrā acī, četras reizes dienā nomoda laikā. Atkarībā no acu pārbaūžu rezultātiem ārsts var pakāpeniski samazināt devu līdz vienam pilienam dienā. Ārstēšana jāturpina ilgstoši.

Plašāka informācija pieejama zāļu lietošanas instrukcijā.

Kā *Cystadrops* darbojas?

Kaitējums, cistīna kristāliem uzkrājoties radzenes šūnās, var radīt nopietnas redzes traucējumus. *Cystadrops* esošā aktīvā viela merkaptamīns reaģē ar cistīnu, to izšķīdinot un veidojot vielas, ko var izvadīt no šūnām. Iepilnot zāles acī, cistīna daudzums radzenes šūnās samazinās, mazinot kaitējumu acij.

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.

Kādi *Cystadrops* ieteikumi atklāti šajos pētījumos?

Cystadrops salīdzināja ar citu, mazāk koncentrētu merkaptamīnu saturošu acu pilienu šķīdumu vienā pamatpētījumā, iesaistot 32 pacientus ar cistinozi no divu gadu vecuma. Galvenais efektivitātes rādītājs bija cistīna kristālu samazinājums radzenē, ko noteica ar mikroskopu un izteica skaitliski, izmantojot *in vivo* konfokālās mikroskopijas (IVCM) rādītājus. Rādītāja diapazons ir no 0 līdz 28, kur 0 norāda, ka kristālu nav. Pētījuma sākumā abu grupu pacientu vidējais rādītājs bija 10. Tika pierādīts, ka *Cystadrops* ir efektīvākas nekā salīdzinājuma zāles cistīna kristālu skaita samazināšanā radzenē pēc trīs mēnešu ilgas ārstēšanas: pacientiem, kuri lietoja *Cystadrops*, IVCM rādītājs samazinājās par 4,6 punktiem, salīdzinot ar 0,5 punktu samazinājumu pacientiem, kuri lietoja salīdzinājuma zāles. Ārstējot pacientus ar *Cystadrops*, samazinājās arī fotofobija (acu diskomforts spilgtā gaismā).

Papildu dati par pieciem bērniem, kas jaunāki par diviem gadiem, liecināja, ka *Cystadrops* var samazināt radzenes cistīna kristālu nogulsņēšanos bērniem no sešu mēnešu vecuma. Turklāt tika pierādīts, ka *Cystadrops* drošums bērniem ir līdzīgs kā pieaugušajiem.

Kāds risks pastāv, lietojot *Cystadrops*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību sarakstu, lietojot *Cystadrops*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Cystadrops* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir saistītas ar aci un ietver sāpes, niezi un kairinājumu acī, pastiprinātu acu asarošanu, neskaidru redzi un okulāro hiperēmiju (sarkanu aci). Šīs blakusparādības parasti ir vieglas vai vidēji smagas un nav ilgstošas.

Kāpēc *Cystadrops* ir reģistrētas ES?

Merkaptamīnu saturošus acu pilienus šķīdumus, ko uz vietas sagatavo aptiekās vai slimnīcās, izmanto jau daudzus gadus cistinozes acu simptomu ārstēšanā. Turklāt pētījumā tika pierādīts, ka *Cystadrops* efektīvi samazina cistīna kristālu skaitu radzenē. Šīs zāles arī uzlaboja citus cistinozes simptomus, piemēram, fotofobiju. Attiecībā uz drošumu, lai gan blakusparādības saistībā ar aci ir novērotas ļoti bieži, tās parasti ir viegli ārstējamas.

Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Cystadrops*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica apstiprināt šīs zāles lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Cystadrops* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā ir ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Cystadrops* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Cystadrops* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Cystadrops* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Cystadrops*

2017. gada 19. janvārī *Cystadrops* saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par *Cystadrops* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Šis pārskats pēdējo reizi atjaunināts 2025. gada jūnijā.