



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*merkaptamina*)

Przegląd wiedzy na temat leku Cystadrops i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Cystadrops i w jakim celu się go stosuje

Cystadrops jest lekiem do oczu, stosowanym u pacjentów w wieku od 6 miesięcy z cystynozą. Cystynozą jest chorobą dziedziczną, w przebiegu której cystyna, naturalnie występująca substancja, gromadzi się w organizmie, i tworzy szkodliwe kryształki, zwłaszcza w nerkach i rogówce (przezroczystej warstwie w przedniej części oka). Lek Cystadrops stosuje się w celu zmniejszenia gromadzenia się kryształków cystyny w rogówce.

Ze względu na to, że liczba pacjentów z cystynozą jest niewielka, chorobę uznano za rzadko występującą, a w dniu 7 listopada 2008 r. lek Cystadrops uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).

Substancją czynną zawartą w leku Cystadrops jest merkaptamina (nazywana również cysteaminą).

Jak stosować lek Cystadrops

Lek wydawany na receptę. Leczenie należy rozpocząć pod nadzorem lekarza posiadającego doświadczenie w prowadzeniu pacjentów z cystynozą.

Lek Cystadrops ma postać kropli do oczu. Zalecana dawka to 1 kropla do każdego oka 4 razy na dobę w godzinach dziennych. W zależności od wyników badań okulistycznych lekarz może stopniowo zmniejszać dawkę do 1 kropli na dobę. Leczenie powinno być prowadzone długoterminowo.

Więcej informacji znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Jak działa lek Cystadrops

Uszkodzenia spowodowane gromadzeniem się kryształków cystyny wewnątrz komórek rogówki mogą prowadzić do poważnych problemów ze wzrokiem. Substancja czynna leku Cystadrops, merkaptamina, wchodzi w reakcję z cystyną — rozpuszcza ją i tworzy substancje, które mogą być usuwane z wnętrza

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



komórek. Po podaniu substancji do oka ilość cystyny w komórkach rogówki zmniejsza się, co ogranicza uszkodzenie oka.

Korzyści ze stosowania leku Cystadrops wykazane w badaniach

Lek Cystadrops porównano z innymi kroplami do oczu zawierającymi merkaptaminę w niższym stężeniu w jednym badaniu głównym z udziałem 32 pacjentów w wieku od 2 lat z cystynozą. Głównym kryterium oceny skuteczności był spadek liczby widocznych pod mikroskopem kryształków cystyny w rogówce, który oceniano ilościowo za pomocą skali IVCN. Wyniki w skali leżą w zakresie od 0 do 28, gdzie 0 oznacza brak kryształków. Na początku badania średni wynik u pacjentów w obu grupach wynosił 10. Wykazano, że lek Cystadrops jest skuteczniejszy od komparatora (leku porównawczego) w zakresie zmniejszania liczby kryształków cystyny w rogówce po 3 miesiącach leczenia: u pacjentów stosujących lek Cystadrops wynik w skali IVCN zmniejszył się o 4,6 punktu, w porównaniu ze spadkiem o 0,5 punktu u pacjentów otrzymujących komparator. Stosowanie leku Cystadrops prowadziło również do ograniczenia fotofobii (światłowstrętu, czyli dyskomfortu oczu wywołanego jasnym światłem).

Dodatkowe dane pochodzące od pięciorga dzieci w wieku poniżej 2 lat życia wskazywały, że lek Cystadrops może zmniejszać odkładanie się kryształków cystyny w rogówce u dzieci w wieku od 6 miesięcy. Ponadto wykazano, że bezpieczeństwo stosowania leku Cystadrops u dzieci jest podobne do bezpieczeństwa stosowania leku u dorosłych.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Cystadrops

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Cystadrops znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Cystadrops (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) dotyczą narządu wzroku i obejmują ból, swędzenie i podrażnienie oka, nasilone łzawienie (łzawiące oczy), niewyraźne widzenie i przekrwienie oka (zaczerwienione oko). Działania te są zwykle łagodne lub umiarkowane i się nie utrzymują.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Cystadrops w UE

Krople do oczu z merkaptaminą, przygotowywane na miejscu w aptekach lub szpitalach stosowano od wielu lat w leczeniu objawów ocznych cystynozy. Ponadto w badaniu wykazano skuteczność leku Cystadrops w zmniejszaniu liczby kryształków cystyny w rogówce. Lek łagodził również inne objawy cystynozy, takie jak fotofobia. W kontekście bezpieczeństwa stosowania, choć działania niepożądane związane z narządem wzroku są bardzo częste, są one zwykle możliwe do opanowania.

Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Cystadrops przewyższają ryzyko i zaleciła dopuszczenie leku do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Cystadrops

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Cystadrops w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Cystadrops są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Cystadrops są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Cystadrops

Lek Cystadrops otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 19 stycznia 2017 r.

Dalsze informacje dotyczące leku Cystadrops znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Data ostatniej aktualizacji: 06.2025.