



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*mercaptamina*)

Um resumo sobre Cystadrops e por que está autorizado na UE

O que é Cystadrops e para que é utilizado?

Cystadrops é um medicamento oftálmico utilizado em doentes a partir dos 6 meses de idade com cistinose. A cistinose é uma doença hereditária na qual uma substância natural designada cistina se acumula no organismo criando cristais nocivos, particularmente aos rins e à córnea (o tecido transparente que se encontra na parte frontal do olho). Cystadrops é utilizado para reduzir a acumulação de cristais na córnea.

Dado o número de doentes afetados por cistinose ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que Cystadrops foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 7 de novembro de 2008.

Cystadrops contém a substância ativa mercaptamina (também conhecida por cisteamina).

Como se utiliza Cystadrops?

Cystadrops só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado sob a supervisão de um médico com experiência na gestão de cistinose.

Cystadrops encontra-se disponível sob a forma de colírio. A dose recomendada é de 1 gota em cada olho 4 vezes ao dia enquanto estiver acordado. A dose pode ser diminuída gradualmente até 1 gota por indicação do seu médico com base nos exames oftalmológicos. O tratamento deve ser continuado a longo prazo.

Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

Como funciona Cystadrops?

A acumulação de cristais de cistina no interior das células da córnea pode causar problemas de visão graves. A substância ativa de Cystadrops, a mercaptamina, reage com a cistina dissolvendo-a e

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.

formando substâncias que possam ser removidas das células. Quando o medicamento é aplicado no olho, a quantidade de cistina nas células da córnea é reduzida, limitando os danos oculares.

Quais os benefícios demonstrados por Cystadrops durante os estudos?

Cystadrops foi comparado com outra solução oftálmica com mercaptamina a uma concentração inferior num estudo principal que incluiu 32 doentes com mais de 2 anos de idade com cistinose. O principal parâmetro de eficácia baseou-se na redução dos cristais de cistina na córnea, observada a microscópio e quantificada segundo uma pontuação chamada Pontuação IVCN. A pontuação varia entre 0 e 28, sendo que 0 corresponde à inexistência de cristais. No início do estudo, os doentes de ambos os grupos apresentaram uma pontuação média de 10. Cystadrops demonstrou ser mais eficaz do que o medicamento de comparação na redução dos cristais de cistina na córnea após 3 meses de tratamento: nos doentes que utilizaram Cystadrops, a pontuação IVCN diminuiu 4,6 pontos comparativamente a um decréscimo de 0,5 pontos nos doentes que utilizaram o medicamento de comparação. O tratamento com Cystadrops também produziu reduções da fotofobia (desconforto do olho quando exposto a luz forte).

Dados adicionais de cinco crianças com menos de 2 anos de idade indicaram que Cystadrops pode reduzir os depósitos de cristais de cistina na córnea em crianças a partir dos 6 meses de idade. Além disso, demonstrou-se que a segurança de Cystadrops em crianças é semelhante à dos adultos.

Quais são os riscos associados a Cystadrops?

Para a lista completa dos efeitos secundários e das restrições de utilização relativamente a Cystadrops, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Cystadrops (observados em mais de 1 em cada 10 pessoas) estão relacionados com o olho e incluem dor, comichão e irritação no olho, aumento da lacrimação (olhos lacrimejantes), visão turva e hiperémia ocular (olho vermelho). Estes efeitos são geralmente ligeiros ou moderados e passageiros.

Por que está Cystadrops autorizado na UE?

As soluções oculares contendo mercaptamina fabricadas em farmácias ou hospitais são utilizadas há vários anos para gerir os sintomas oculares da cistinose. Além disso, Cystadrops demonstrou, num estudo, ser eficaz na redução dos cristais de cistina na córnea. O medicamento melhorou também outros sintomas da cistinose, tais como a fotofobia. Relativamente à segurança, embora os efeitos secundários relacionados com o olho sejam muito comuns, são geralmente controláveis.

Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Cystadrops são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Cystadrops?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Cystadrops.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Cystadrops são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Cystadrops são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Cystadrops

Em 19 de janeiro de 2017, Cystadrops recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia.

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 06-2025.