



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*mercaptamină*)

Prezentare generală a Cystadrops și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Cystadrops și pentru ce se utilizează?

Cystadrops este un medicament oftalmologic utilizat la pacienții cu vârsta peste 6 luni care au cistinoză. Cistinoza este o boală ereditară, în care substanța naturală numită cistină se acumulează în corp formând cristale dăunătoare, în special în rinichi și în cornee (stratul transparent din fața ochiului). Cystadrops se utilizează pentru a reduce acumularea de cristale de cistină din cornee.

Din cauza numărului mic de pacienți cu cistinoză, boala este considerată „rară”, iar Cystadrops a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 7 noiembrie 2008.

Cystadrops conține substanța activă mercaptamină (numită și cisteamină).

Cum se utilizează Cystadrops?

Cystadrops se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat sub supravegherea unui medic cu experiență în tratamentul cistinozei.

Medicamentul este disponibil sub formă de picături oftalmice. Doza recomandată este de o picătură în fiecare ochi, de 4 ori pe zi, în timpul orelor de veghe. Medicul poate să reducă treptat doza până la o picătură pe zi, în funcție de rezultatele controalelor oftalmologice. Tratamentul trebuie continuat pe termen lung.

Pentru mai multe informații, citiți prospectul.

Cum acționează Cystadrops?

Lezarea cristalelor de cistină în interiorul celulelor corneene poate cauza tulburări de vedere grave. Substanța activă din Cystadrops, mercaptamina, intră în reacție cu cistina pentru a o dizolva și a forma substanțe care pot fi eliminate din celule. La aplicarea medicamentului în ochi, cantitatea de cistină din celulele corneei scade, limitând gradul de lezare a ochiului.

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



Ce beneficii a prezentat Cystadrops pe parcursul studiilor?

Cystadrops a fost comparat cu o soluție de picături oftalmice, mai puțin concentrată, pe bază de mercaptamină, într-un studiu principal care a cuprins 32 de pacienți cu cistinoză, cu vârsta de 2 ani și peste. Principala măsură de eficacitate s-a bazat pe reducerea cristalelor corneene de cistină astfel cum au fost observate la microscop și cuantificate pe baza unui scor numit scorul IVCM. Scorul este între 0 și 28, unde 0 înseamnă „fără cristale”. La începutul studiului, pacienții din ambele grupuri au avut un scor mediu de 10. Cystadrops s-a dovedit mai eficace decât medicamentul de comparație în ceea ce privește scăderea cristalelor corneene de cistină după 3 luni de tratament: la pacienții care au utilizat Cystadrops, scorul ICVM a scăzut cu 4,6 puncte, în comparație cu o scădere de 0,5 puncte la pacienții care au utilizat comparatorul. Tratamentul cu Cystadrops a dus și la reduceri ale fotofobiei (disconfortul ochiului la lumină puternică).

Date suplimentare obținute de la cinci copii cu vârsta sub 2 ani au indicat că Cystadrops poate reduce depunerile corneene de cristale de cistină la copii începând cu vârsta de 6 luni. În plus, siguranța Cystadrops la copii s-a dovedit similară cu cea la adulți.

Care sunt riscurile asociate cu Cystadrops?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Cystadrops, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Cystadrops (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt în legătură cu ochiul și includ durere, mâncărimi și iritație la nivelul ochilor, lăcrimare crescută (ochi apoși), vedere încețoșată și hiperemie oculară (înroșirea ochilor). De obicei, aceste reacții sunt ușoare sau moderate și nu sunt de durată.

De ce a fost autorizat Cystadrops în UE?

Soluțiile de picături de ochi bază de mercaptamină preparate local, în farmacii sau spitale, se folosesc de mulți ani pentru tratamentul simptomelor oculare de cistinoză. Mai mult, într-un studiu s-a dovedit că Cystadrops este eficace în scăderea cristalelor corneene de cistină. Medicamentul a ameliorat și alte simptome de cistinoză, de exemplu fotofobia. În ce privește siguranța, deși reacțiile adverse la nivelul ochilor sunt foarte frecvente, ele sunt în general tratabile.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Cystadrops sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Cystadrops?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Cystadrops, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Cystadrops sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Cystadrops sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Cystadrops

Cystadrops a primit autorizație de punere pe piață valabilă pe întreg teritoriul UE, la 19 ianuarie 2017.

Mai multe informații despre Cystadrops se pot găsi pe site-ul agenției:

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

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 06-2025.