



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*merkaptamín*)

Prehľad o lieku Cystadrops a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Cystadrops a na čo sa používa?

Cystadrops je očný liek, ktorý sa používa u pacientov vo veku od 6 mesiacov, ktorí majú cystinózu. Cystinóza je dedičné ochorenie, pri ktorom sa prirodzená látka nazývaná cystín ukladá v tele a vytvára škodlivé kryštály, najmä v obličkách a rohovke (priesvitnej vrstve pred okom). Liek Cystadrops sa používa na zmiernenie ukladania kryštálov cystínu v rohovke.

Keďže je počet pacientov s cystinózou nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Cystadrops 7. novembra 2008 označený za liek na ojedinelé ochorenia.

Liek Cystadrops obsahuje liečivo merkaptamín (známy aj ako cysteamín).

Ako sa liek Cystadrops používa?

Výdaj lieku Cystadrops je viazaný na lekársky predpis a liečba sa má začať pod dohľadom lekára, ktorý má skúsenosti s liečbou cystinózy.

Liek Cystadrops je dostupný ako očná instilácia. Odporúčaná dávka je 1 kvapka do každého oka štyrikrát denne počas hodín bdenia. Lekár môže dávku postupne znížiť na 1 kvapku denne, a to v závislosti od výsledkov očných vyšetrení. Liečba sa má vykonávať dlhodobo.

Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Akým spôsobom liek Cystadrops účinkuje?

Poškodenie v dôsledku ukladania kryštálov cystínu v bunkách rohovky môže spôsobiť vážne problémy s videním. Liečivo lieku Cystadrops, merkaptamín, reaguje s cystínom a rozpúšťa ho, pričom sa vytvárajú látky, ktoré môžu byť z buniek odstránené. Keď sa liek aplikuje do oka, množstvo cystínu v bunkách rohovky sa znižuje, čo obmedzuje rozsah poškodenia oka.

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.

Aké prínosy lieku Cystadrops boli preukázané v štúdiách?

V jednej hlavnej štúdii, do ktorej bolo zapojených 32 pacientov od dvoch rokov s cystinózou, sa liek Cystadrops porovnával s inou očnou roztokovou instiláciou v nižšej koncentrácii. Hlavné meradlo účinnosti bolo založené na znížení množstva kryštálov cystínu v rohovke pozorované mikroskopicky a určené množstva za použitia skóre nazývaného skóre IVCN. Skóre sa pohybuje v rozpätí od 0 do 28, pričom číslo 0 zodpovedá stavu bez výskytu kryštálov. Na začiatku štúdie mali pacienti v oboch skupinách priemerné skóre 10. Preukázalo sa, že liek Cystadrops bol pri znižovaní množstva kryštálov cystínu po 3 mesiacoch liečby účinnejší ako porovnávací liek: u pacientov používajúcich liek Cystadrops sa skóre IVCN znížilo o 4,6 bodov v porovnaní so znížením o 0,5 bodov u pacientov používajúcich porovnávací liek. Liečba liekom Cystadrops viedla takisto k zmierneniu fotofóbie (zvýšenej citlivosti na svetlo).

Z ďalších údajov u piatich detí mladších ako 2 roky vyplýva, že liek Cystadrops môže znížiť kryštálové depozity cystínu v rohovke u detí vo veku od 6 mesiacov. Okrem toho sa preukázalo, že bezpečnosť lieku Cystadrops u detí je podobná bezpečnosti u dospelých.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Cystadrops?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Cystadrops a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Cystadrops (ktoré môžu postihnúť viac než 1 osobu z 10) sa týkajú očí a zahŕňajú bolesť, svrbenie a podráždenie oka, zvýšenú lakrimáciu (vodnaté oči), rozmazané videnie a očné hyperémie (začervenanie oka). Tieto účinky sú zvyčajne mierne alebo stredne závažné a nepretrvávajú dlhšie obdobie.

Prečo bol liek Cystadrops povolený v EÚ?

Merkaptamínové očné roztokové instilácie, ktorá sa pripravovali lokálne v lekárňach alebo v nemocniciach sa používajú už niekoľko rokov na liečbu očných symptómov cystinózy. Okrem toho sa v štúdii preukázalo, že liek Cystadrops je účinný pri znižovaní množstva kryštálov cystínu v rohovke. Tento liek zlepšil aj iné symptómy cystinózy, napr. fotofóbiu. Pokiaľ ide o bezpečnosť, napriek tomu, že vedľajšie účinky týkajúce sa oka sú veľmi časté, zvyčajne sú zvládnuteľné.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Cystadrops sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a odporučila udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Cystadrops?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Cystadrops boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Cystadrops sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Cystadrops sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Cystadrops

Lieku Cystadrops bolo 19. januára 2017 udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ.

Ďalšie informácie o lieku Cystadrops sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 06-2025