



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*merkaptamin*)

Pregled zdravila Cystadrops in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Cystadrops in za kaj se uporablja?

Cystadrops je zdravilo za oči, ki se uporablja pri bolnikih, starejših od 6 mesecev, ki imajo cistinozo. Cistinoza je dedna bolezen, pri kateri se naravna snov, imenovana cistin, kopiči v telesu in tvori škodljive kristale, zlasti v ledvicah in roženici (prosojni plasti na sprednjem delu očesa). Zdravilo Cystadrops se uporablja za zmanjševanje tvorjenja cistinskih kristalov v roženici.

Ker je bolnikov s cistinozo malo, velja ta bolezen za redko, zato je bilo zdravilo Cystadrops 7. novembra 2008 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni).

Zdravilo Cystadrops vsebuje učinkovino merkaptamin (znano tudi kot cisteamin).

Kako se zdravilo Cystadrops uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Cystadrops je le na recept, zdravljenje z njim pa se sme uvesti in izvajati samo pod nadzorom zdravnika z izkušnjami z zdravljenjem cistinoze.

Na voljo je v obliki kapljic za oko. Priporočeni odmerek je ena kapljica v vsako oko štirikrat na dan v času budnosti. Zdravnik lahko odmerek postopoma zmanjša na eno kapljico dnevno glede na rezultate očesnega pregleda. Zdravljenje naj se nadaljuje daljše obdobje.

Za več informacij glejte navodilo za uporabo.

Kako zdravilo Cystadrops deluje?

Poškodbe zaradi kopičenja cistinskih kristalov v celicah roženice lahko povzročijo resne težave z vidom. Učinkovina v zdravilu Cystadrops, merkaptamin, reagira s cistinom tako, da ga raztopi in pretvori v snovi, ki se lahko odstranijo iz celic. Po vnosu zdravila v oko se količina cistina v celicah roženice zmanjša, s čemer se zmanjša tudi obseg poškodb očesa.

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.

Kakšne koristi zdravila Cystadrops so se pokazale v študijah?

Zdravilo Cystadrops so primerjali z drugimi kapljicami za oko, ki vsebujejo nižjo koncentracijo merkaptamina, v eni glavni študiji, v kateri je sodelovalo 32 bolnikov s cistinozo, ki so bili starejši od dveh let. Glavno merilo učinkovitosti je bilo zmanjšanje cistinskih kristalov v roženici, kar so ugotavljali z mikroskopom na podlagi ocenjevalne lestvice IVCM. Lestvica ima razpon od 0 do 28 točk, pri čemer 0 točk pomeni popolno odsotnost kristalov. Ob začetku študije je bil povprečen rezultat 10 točk v obeh skupinah bolnikov. Zdravilo Cystadrops se je po treh mesecih zdravljenja izkazalo za učinkovitejše od primerjalnega zdravila pri zmanjševanju cistinskih kristalov v roženici: pri bolnikih, ki so uporabljali zdravilo Cystadrops se je rezultat na lestvici IVCM zmanjšal za 4,6 točke, medtem ko se je pri bolnikih, ki so uporabljali primerjalno zdravilo, zmanjšal za 0,5 točke. Zdravljenje z zdravilom Cystadrops je zmanjšalo tudi fotofobijo (ščemenje v očeh zaradi premočne svetlobe).

Dodatni podatki, pridobljeni pri petih otrocih, mlajših od dveh let, so pokazali, da lahko zdravilo Cystadrops zmanjša odlaganje cistinskih kristalov v roženici pri otrocih, starejših od šest mesecev. Poleg tega se je izkazalo, da je varnost zdravila Cystadrops pri otrocih podobna varnosti pri odraslih.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Cystadrops?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Cystadrops glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Cystadrops (ki lahko prizadenejo več kot 1 od 10 bolnikov) so povezani z očmi in vključujejo bolečine v očesu, srbenje in draženje očesa, povečano solzenje, zamegljen vid in okularno hiperemijo (pordelost očesa). Neželeni učinki so običajno blagi ali zmerni in hitro izzvenijo.

Zakaj je bilo zdravilo Cystadrops odobreno v EU?

Raztopina merkaptamina v obliki kapljic za oko, pripravljena v lokalnih lekarnah ali bolnišnicah, se že več let uporablja za obvladovanje simptomov cistinoze. Poleg tega je študija pokazala, da je zdravilo Cystadrops učinkovito pri zmanjševanju cistinskih kristalov v roženici. To zdravilo izboljšuje tudi druge simptome cistinoze, kot je denimo fotofobija. Z vidika varnosti so neželeni učinki, ki prizadenejo oko, navadno obvladljivi, četudi so zelo pogosti.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Cystadrops večje od z njim povezanih tveganj, in priporočila, da se odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Cystadrops?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Cystadrops upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Cystadrops stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Cystadrops, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Cystadrops

Za zdravilo Cystadrops je bilo 19. januarja 2017 izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Cystadrops so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 06-2025.