

EMA/687938/2016
EMA/H/C/003769

Povzetek EPAR za javnost

Cystadrops

merkaptamin

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Cystadrops. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila Cystadrops naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo Cystadrops in za kaj se uporablja?

Cystadrops je zdravilo za oči za uporabo pri bolnikih, starejših od dveh let, 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 zdravilno 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. Zdravilna 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.

Kakšne koristi je zdravilo Cystadrops izkazalo 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 IVCN. 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 IVCN 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).

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Cystadrops?

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Cystadrops (ki lahko prizadenejo več kot 1 osebo od 10) 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.

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

Zakaj je bilo zdravilo Cystadrops odobreno?

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.

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) pri agenciji je zaključil, da so koristi zdravila Cystadrops večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se odobri za uporabo v EU.

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

Priporočila in varnostni 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 njegovo uporabo.

Druge informacije o zdravilu Cystadrops

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo Cystadrops je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Za več informacij o zdravljenju z zdravilom Cystadrops preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek mnenja Odbora za zdravila sirote o zdravilu Cystadrops je na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.