



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Cystadrops

mercaptaminum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Cystadrops. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Cystadrops používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Cystadrops, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

Co je Cystadrops a k čemu se používá?

Cystadrops je léčivý přípravek na oči, který se používá u pacientů ve věku od 2 let trpících cystinózou. Cystinóza je dědičné onemocnění, při kterém se v těle hromadí přírodní látka zvaná cystin, což vede k tvorbě škodlivých krystalů, zejména v ledvinách a v rohovce (průhledné vrstvě v přední části oka). Přípravek Cystadrops se používá ke zmírnění hromadění krystalů cystinu v rohovce.

Jelikož počet pacientů s cystinózou je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Cystadrops byl dne 7. listopadu 2008 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.

Přípravek Cystadrops obsahuje léčivou látku merkaptamin (také známou jako cysteamin).

Jak se přípravek Cystadrops používá?

Výdej přípravku Cystadrops je vázán na lékařský předpis. Léčba přípravkem Cystadrops by měla být zahájena pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s léčbou cystinózy.



Přípravek Cystadrops je k dispozici ve formě očních kapek. Doporučená dávka je 1 kapka do každého oka čtyřikrát denně kromě doby spánku. Lékař může v závislosti na výsledcích vyšetření oka dávku postupně snižovat až na 1 kapku jednou denně. Léčba by měla být dlouhodobá.

Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

Jak přípravek Cystadrops působí?

Poškození způsobené hromaděním krystalů cystinu v buňkách rohovky může vést k závažným potížím se zrakem. Léčivá látka v přípravku Cystadrops, merkaptamin, s cystinem reaguje tak, že se cystin rozpustí a vzniknou látky, které lze z buněk odstranit. Když se tento léčivý přípravek aplikuje do oka, sníží se množství cystinu v buňkách rohovky, což zmírňuje poškození oka.

Jaké přínosy přípravku Cystadrops byly prokázány v průběhu studií?

Přípravek Cystadrops byl srovnáván s jinými očními kapkami ve formě roztoku s nižší koncentrací merkaptaminu v jedné hlavní studii, do které bylo zařazeno 32 pacientů s cystinózou ve věku od 2 let. Hlavní měřítko účinnosti vycházelo ze snížení množství krystalů cystinu v rohovce při pozorování pod mikroskopem a bylo vyjádřeno pomocí tzv. konfokálního mikroskopického celkového skóre *in vivo* (IVCM). Toto skóre používá rozsah od 0 do 28, přičemž 0 znamená, že nejsou přítomny žádné krystaly. Na začátku studie měli pacienti v obou skupinách průměrné skóre 10.

Bylo prokázáno, že přípravek Cystadrops byl v rámci snížení množství krystalů cystinu v rohovce po 3 měsících léčby účinnější než srovnávací léčivý přípravek: zatímco u pacientů užívajících přípravek Cystadrops skóre IVCM pokleslo o 4,6 bodu, u pacientů užívajících srovnávací léčivý přípravek pokleslo o 0,5 bodu. Léčba přípravkem Cystadrops také vedla ke zmírnění fotofobie (podráždění očí při jasném světle).

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Cystadrops?

Nejčastější nežádoucí účinky přípravku Cystadrops (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) souvisí s očima a zahrnují bolest, svědění a podráždění očí, zvýšené slzení, rozmazané vidění a hyperemie očí (zarudnutí oka). Tyto účinky jsou obvykle mírné až středně závažné povahy a jsou přechodné.

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Cystadrops je uveden v příbalové informaci.

Na základě čeho byl přípravek Cystadrops schválen?

Oční kapky ve formě roztoku s merkaptaminem vyráběné místně v lékárnách nebo nemocnicích se k léčbě očních příznaků cystinózy používají již řadu let. Přípravek Cystadrops navíc v jedné studii prokázal svou účinnost v rámci snižování množství krystalů cystinu v rohovce. Přípravek také zlepšil jiné příznaky cystinózy, například fotofobii. Co se týče bezpečnosti, ačkoli nežádoucí účinky týkající se očí jsou velmi časté, jsou obvykle zvladatelné.

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury rozhodl, že přínosy přípravku Cystadrops převyšují jeho rizika, a proto doporučil, aby byl schválen k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Cystadrops?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Cystadrops, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Další informace o přípravku Cystadrops

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Cystadrops je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Další informace o léčbě přípravkem Cystadrops naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Cystadrops vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.