



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR – sammendrag for offentligheden

Cystadrops

mercaptamin

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Cystadrops. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Cystadrops bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Cystadrops, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Cystadrops, og hvad anvendes det til?

Cystadrops er øjenmedicin, som anvendes til patienter fra 2 år med cystinose. Cystinose er en arvelig sygdom, hvor et naturligt stof kaldet cystin hober sig op i kroppen, hvilket forårsager, at der dannes skadelige krystaller i nyrerne og hornhinden (den gennemsigtige hinde, der dækker det forreste af øjet). Cystadrops anvendes til at mindske ophobningen af cystinkrystaller i hornhinden.

Da antallet af patienter med cystinose er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Cystadrops blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 7. november 2008.

Cystadrops indeholder det aktive stof mercaptamin (også kendt som cysteamin).

Hvordan anvendes Cystadrops?

Cystadrops udleveres kun efter recept, og behandlingen bør iværksættes under opsyn af en læge med erfaring i behandling af cystinose.

Cystadrops fås som øjendråber. Den anbefalede dosis er en dråbe i hvert øje 4 gange dagligt i patientens vågenperiode. Lægen kan nedsætte dosis progressivt til 1 daglig dråbe, afhængigt af resultaterne af øjenundersøgelserne. Behandlingen bør forløbe over lang tid.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 **Facsimile** +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

Hvordan virker Cystadrops?

Dannelsen af cystinkrystaller i hornhindecellerne kan beskadige øjet og forårsage alvorlige synsforstyrrelser. Det aktive stof i Cystadrops, mercaptamin, reagerer med og opløser cystin og danner stoffer, der kan fjernes fra cellerne. Ved lægemidlets kontakt med øjet reduceres mængden af cystin i hornhindens celler og begrænser herved øjenbeskadigelsen.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Cystadrops?

Cystadrops er blevet sammenlignet med en mindre koncentreret mercaptamin-øjendråbeopløsning i en hovedundersøgelse, hvori der deltog 32 patienter fra 2 år med cystinose. Behandlingens virkning blev hovedsagelig bedømt på mindskelsen af krystalaflejringer i hornhinden ved mikroskopi og med kvantificering ved hjælp af en målingsværdi kaldet IVCM-score. Målingsværdierne går fra 0 til 28, hvor 0 svarer til ingen krystaller. I starten af undersøgelsen havde patienterne i begge grupper et midlertidigt målingsresultat på 10.

Cystadrops viste sig at være mere effektivt end sammenligningslægemidlet til at mindske cystinkrystaller i hornhinden efter 3 måneders behandling. Hos patienter, der anvendte Cystadrops, faldt IVCM-scoren med 4,6 point sammenlignet med et fald på 0,5 point hos patienter, der anvendte sammenligningslægemidlet. Behandling med Cystadrops førte også til reduktioner i fotofobi (ubehag i øjnene ved stærkt lys)

Hvilke risici er der forbundet med Cystadrops?

De hyppigste bivirkninger ved Cystadrops (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) vedrører øjet og omfatter smerter, kløe og irritation i øjet, øget tåreproduktion, slørret syn og okulær hyperæmi (røde øjne). Disse virkninger er normalt milde og moderate og varer ikke ved.

Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger og begrænsninger ved Cystadrops fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Cystadrops godkendt?

Øjendråbeopløsninger med mercaptamin, som blandes lokalt på apoteker og hospitaler, er blevet anvendt i mange år til behandling af øjensymptomer på cystinose. Desuden har Cystadrops i en undersøgelse vist sig at være effektivt til at mindske cystinkrystaller i hornhinden. Lægemidlet har også forbedret andre symptomer på cystinose såsom fotofobi. Hvad angår sikkerhed optræder der ofte bivirkninger i relation til øjet, men de er normalt håndterbare.

Agenturets Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) konkluderede, at fordelene ved Cystadrops opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Cystadrops?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Cystadrops.

Andre oplysninger om Cystadrops

Den fuldstændige EPAR for Cystadrops findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Cystadrops, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Cystadrops findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation)