



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Cystadrops

merkaptamiini

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee lääkevalmistetta nimeltä Cystadrops. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätynt suositukseen myyntiluvan myöntämisestä ja lääkevalmisteen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Cystadropsin käytöstä.

Potilas saa Cystadropsin käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Cystadrops on ja mihin sitä käytetään?

Cystadrops on silmälääke kystinoosin hoitoon yli 2-vuotiaille potilaille. Kystinoosi on perinnöllinen sairaus, jossa elimistössä muodostuva luonnollinen kystiini-niminen aine kiteytyy ja vahingoittaa etenkin munuaisia ja sarveiskalvoa (läpinäkyvä kerros silmän etuosassa). Cystadropsia käytetään vähentämään kystiinikiteiden muodostumista sarveiskalvolla.

Koska kroonista kystinoosia sairastavia potilaita on vähän, tauti katsotaan harvinaiseksi, ja Cystadrops nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 7. marraskuuta 2008.

Cystadropsin vaikuttava aine on merkaptamiini (tunnetaan myös kysteamiinina).

Miten Cystadropsia käytetään?

Cystadrops-valmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja hoito on aloitettava sellaisen lääkärin valvonnassa, jolla on kokemusta kystinoosin hoidosta.

Cystadropsia on saatavana silmätippoina. Suositusannos on 1 tippa molempiin silmiin 4 kertaa vuorokaudessa valveillaoloaikana. Lääkäri voi pienentää annostusta vähitellen 1 tippaan vuorokaudessa riippuen silmätutkimusten tuloksista. Hoidon on jatkuttava pitkään.



Lisätietoja on pakkausselosteessa.

Miten Cystadrops vaikuttaa?

Vauriot kystiinikiteiden muodostumisesta sarveiskalvon solujen sisälle voivat aiheuttaa vakavia näköongelmia. Cystadropsin vaikuttava aine, merkaptamiini, reagoi kystiinin kanssa liuottaen sitä ja muodostaen aineita, jotka voivat poistua soluista. Kun lääkettä laitetaan silmään, kystiinin määrä sarveiskalvon soluissa vähenee, mikä vähentää silmän vaurioitumista.

Mitä hyötyä Cystadropsista on havaittu tutkimuksissa?

Cystadropsia on verrattu toiseen vähemmän väkevään merkaptamiinia sisältävään silmätippaliuokseen yhdessä päätutkimuksessa, johon osallistui 32 yli 2-vuotiasta kystinoosipotilasta. Tehon pääasiallinen mitta perustui kystiinikiteiden vähenemiseen sarveiskalvolla mikroskooppitutkimuksen perusteella ja määritettynä ns. IVCM-pisteitä käyttäen. Pisteet annettiin asteikolla 0–28, ja 0 pistettä tarkoittaa, ettei kiteitä ole. Tutkimuksen alussa potilailla kahdessa ryhmässä oli keskimäärin 10 pistettä.

Cystadropsin osoitettiin olevan tehokkaampi kuin vertailulääke kystiinikiteiden vähentämisessä sarveiskalvolla 3 kuukauden hoidon jälkeen: Cystadropsia käyttäneiden potilaiden IVCM-pisteet vähenivät 4,6 pistettä, kun vähenemä vertailulääkettä saaneilla potilailla oli 0,5 pistettä. Cystadrops-hoito vähensi myös valonarkuutta (kirkkaassa valossa silmässä tuntuva epämukavuus).

Mitä riskejä Cystadrops-valmisteeseen liittyy?

Cystadropsin yleisimmät sivuvaikutukset (joita voi olla useammalla kuin 1 henkilöllä 10:stä) liittyvät silmiin, ja niitä ovat kipu, kutina ja ärsytys silmässä, lisääntynyt lakrimaatio (kyynelten erittyminen) sumentunut näkö ja silmän verekyys (silman punaisuus). Sivuvaikutukset ovat yleensä lieviä tai kohtalaisia ja lyhytkestoisia.

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Cystadropsin ilmoitetuista sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Cystadrops on hyväksytty?

Paikallisissa apteekeissa tai sairaaloissa merkaptamiinista tehtyjä silmätippaliuoksia on käytetty useita vuosia kystinoosin aiheuttamien silmäoireiden hoitoon. Cystadropsin on lisäksi osoitettu tutkimuksissa vähentävän tehokkaasti kystiinikiteitä sarveiskalvolla. Lääke paransi myös muita kystinoosin oireita, kuten valonarkuutta. Mitä tulee turvallisuuteen, silmiin liittyvät sivuvaikutukset ovat hyvin yleisiä mutta usein hallittavissa.

Viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Cystadropsin hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan myöntämistä sille EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Cystadropsin turvallinen ja tehokas käyttö?

Cystadropsin turvallisen ja tehokkaan käytön varmistamiseksi valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen on sisällytetty suosituksia ja varoituksia terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden noudatettavaksi.

Muuta tietoa Cystadropsista

Cystadropsia koskeva EPAR-arviointilausunto kokonaisuudessaan on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports).

Lisätietoa Cystadrops-hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Cystadropsia koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).