



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Cystadrops

merkaptamin

Ez a dokumentum a Cystadrops-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a Cystadrops alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a Cystadrops alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer a Cystadrops és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Cystadrops 2 éves kortól a cisztinózis kezelésére alkalmazott szemgyógyszer. A cisztinózis egy örökletes betegség, amely során a cisztin nevű természetes anyag felhalmozódik a szervezetben és káros kristályokat hoz létre, különösen a vesékben és a szaruhártyán (a szem előtti átlátszó réteg). A Cystadrops-ot a szaruhártyán lerakódó cisztinkristályok mennyiségének csökkentésére alkalmazzák.

Mivel a cisztinózisban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért a Cystadrops-ot 2008. november 7-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették.

A Cystadrops hatóanyagként merkaptamint (másnéven ciszteamin) tartalmaz.

Hogyan kell alkalmazni a Cystadrops-ot?

A Cystadrops csak receptre kapható, és a kezelést a cisztinózis kezelésében tapasztalt orvos felügyelete mellett kell megkezdeni.

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



A Cystadrops szemcsepp formájában kerül forgalomba. Az ajánlott adag egy-egy csepp mindkét szembe, 4 alkalommal az ébrenléti órákban beadva. A természetes vizsgálat eredményeitől függően az orvos fokozatosan napi egy csepre csökkentheti az adagot. A kezelés hosszú távon alkalmazandó.

További információ a betegtájékoztatóban található.

Hogyan fejt ki hatását a Cystadrops?

A cisztinkristályok felhalmozódása a szaruhártya sejtjeiben súlyos látási problémákat okozhat. A Cystadrops hatóanyaga, a merkaptamin reakcióba lép a cisztinnel, feloldja azt, és olyan anyagokat képez vele, amelyek eltávolíthatók a sejtekből. A gyógyszer szemben történő alkalmazásakor a cisztin mennyisége a szaruhártya sejtjeiben csökken, és ez korlátozza a szem károsodásának mértékét.

Milyen előnyei voltak a Cystadrops alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Cystadrops-ot egy fő vizsgálatban 32, cisztinózisban szenvedő, 2 évnél idősebb beteg bevonásával egy másik, kevésbé koncentrált, merkaptamin tartalmú szemcsepp-oldattal hasonlították össze. A fő hatékonysági mutató a szaruhártyán lerakódó cisztinkristályok mennyiségének csökkenésén alapult, amelyet mikroszkóppal ellenőriztek és az úgynevezett IVCM pontszámmal mértek. A pontértékek 0-tól 28-ig terjednek, és a 0 a kristályok jelenlétének hiányát jelenti. A vizsgálat kezdetekor a betegek átlagos pontszáma mindkét csoportban 10 volt.

A Cystadrops 3 hónap kezelés után hatékonyabbnak bizonyult az összehasonlító készítménynél a szaruhártyán lerakódó cisztinkristályok mennyiségének csökkentésében: a Cystadrops-szal kezelt betegeknek az IVCM pontszám 4,6 ponttal csökkent, szemben az összehasonlító készítmény által előidézett 0,5 pontos csökkenéssel. A Cystadrops-kezelés a fotofóbia (fényérzékenység) enyhüléséhez is vezetett.

Milyen kockázatokkal jár a Cystadrops alkalmazása?

A Cystadrops leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a szemhez kapcsolódnak, és közéjük tartozik a szemfájdalom, szemviszketés és szemirritáció, fokozott könnyezés, homályos látás és a szemvörösség (okuláris hiperémia). Ezek a mellékhatások általában enyhe vagy közepes súlyosságúak, és idővel elmúlnak.

A Cystadrops alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

Miért engedélyezték a Cystadrops forgalomba hozatalát?

A gyógyszertárakban vagy kórházakban helyben elkészített merkaptamin tartalmú szemcsepp-oldatokat évek óta alkalmazzák a cisztinózis szemet érintő tüneteinek kezelésére. Ezen túlmenően a Cystadrops egy vizsgálatban is hatékonynak bizonyult a szaruhártyán lerakódó cisztinkristályok mennyiségének csökkentésében. A gyógyszer a cisztinózis egyéb tüneteit, így például a fotofóbiát is enyhítette. A biztonságosságot illetően, bár a szemet érintő mellékhatások nagyon gyakoriak, rendszerint kezelhetőek is.

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapította, hogy a Cystadrops alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Cystadrops biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Cystadrops biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Cystadrops-szal kapcsolatos egyéb információ

A Cystadrops-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European_public_assessment_reports. Amennyiben a Cystadrops-szal történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Cystadrops-ra vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/Rare_disease_designation.