



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sammanfattning av EPAR för allmänheten

---

# Cystadrops

## merkaptamin

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Cystadrops. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Cystadrops ska användas.

Praktisk information om hur Cystadrops ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

### Vad är Cystadrops och vad används det för?

Cystadrops är ett ögonläkemedel som ges till patienter från två års ålder som har cystinos. Cystinos är en ärftlig sjukdom där en naturlig substans som kallas cystin ansamlas i kroppen och bildar skadliga kristaller, särskilt i njurarna och hornhinnan (den genomskinliga hinnan framför ögat) Cystadrops ges för att minska ansamlingen av cystinkristaller i hornhinnan.

Eftersom antalet patienter med cystinos är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Cystadrops klassificerades som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 7 november 2008.

Cystadrops innehåller den aktiva substansen merkaptamin (även kallad cysteamin).

### Hur används Cystadrops?

Cystadrops är receptbelagt och behandling ska inledas under övervakning av en läkare med erfarenhet av behandling av cystinos.

Cystadrops finns som ögondroppar. Den rekommenderade dosen är en droppe i varje öga fyra gånger per dag under den tid patienten är vaken. Läkaren kan minska dosen gradvis till en droppe per dag beroende på resultaten av ögonundersökningar. Behandlingen ska pågå under lång tid.



Mer information finns i bipacksedeln.

## Hur verkar Cystadrops?

Skador till följd av ansamling av cystinkristaller inuti hornhinnans celler kan orsaka allvarliga synproblem. Den aktiva substansen i Cystadrops, merkaptamin, reagerar med cystin för att lösa upp det och bilda substanser som kan föras bort från cellerna. När Cystadrops appliceras i ögat minskar mängden cystin i hornhinnans celler, vilket gör att skadorna på ögat begränsas.

## Vilken nytta med Cystadrops har visats i studierna?

Cystadrops jämfördes med en annan ögondroppslösning med merkaptamin i mindre koncentration i en huvudstudie med 32 patienter från två års ålder med cystinos. Huvudeffektområdet grundade sig på minskningen av cystinkristaller i hornhinnan som undersöktes med mikroskop och sedan kvantifierades med hjälp av en poängskala som kallas ICVM-poäng. Poängen ligger mellan 0 och 28 där 0 motsvarar inga kristaller. Vid inledningen av studien hade patienterna i de båda grupperna i genomsnitt 10 poäng.

Cystadrops visade sig vara effektivare än jämförelseläkemedlet när det gällde att minska cystinkristaller i hornhinnan efter tre månaders behandling: hos patienter som fick Cystadrops minskade ICVM-poängen med 4,6 poäng jämfört med en minskning på 0,5 poäng hos patienter som fick jämförelseläkemedlet. Behandling med Cystadrops ledde också till minskning av fotofobi (obehag i ögonen vid starkt ljus).

## Vilka är riskerna med Cystadrops?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Cystadrops (kan uppträda hos fler än 1 av 10 personer) är relaterade till ögonen och omfattar bland annat smärta, klåda och irritation i ögonen, ökat tårflöde, dimsyn och okulär hyperemi (röda ögon). Dessa biverkningar är oftast lindriga eller måttliga och övergående.

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Cystadrops finns i bipacksedeln.

## Varför godkänns Cystadrops?

Ögondroppslösningar med merkaptamin som bereds lokalt på apotek eller sjukhus har använts i många år för att behandla ögonsymtom i samband med cystinos. Cystadrops har dessutom i en studie visats vara effektivt för att minska cystinkristaller i hornhinnan. Läkemedlet förbättrade också andra symtom vid cystinos, bland annat fotofobi. Vad gäller säkerhet ansågs biverkningar relaterade till ögonen vara hanterbara, även om de är mycket vanliga.

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att nyttan med Cystadrops är större än riskerna och rekommenderade att Cystadrops skulle godkännas för försäljning i EU.

## Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Cystadrops?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Cystadrops har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

## Mer information om Cystadrops

EPAR för Cystadrops finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Mer information om behandling med Cystadrops finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Cystadrops från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).