



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*mercaptamin*)

En oversigt over Cystadrops, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Cystadrops, og hvad anvendes det til?

Cystadrops er et øjenlægemiddel, der anvendes hos patienter fra 6-måneders alderen, som har 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 reducere 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 fås kun på recept, og behandling bør indledes under supervision af en læge, der har erfaring med 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 dosen progressivt til 1 dråbe dagligt, afhængigt af resultaterne af øjenundersøgelserne. Behandling bør forløbe over lang tid.

De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

Hvordan virker Cystadrops?

Ophobningen af cystinkrystaller i hornhindecellerne kan beskadige øjet og give alvorlige synsforstyrrelser. Det aktive stof i Cystadrops, mercaptamin, reagerer med og opløser cystin og danner stoffer, der kan fjernes fra cellerne. Når det dryppes i øjet, reduceres mængden af cystin i hornhindens celler, hvorved skaden på øjet begrænses.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



© European Medicines Agency, 2025. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Cystadrops?

Cystadrops er blevet sammenlignet med en mindre koncentreret øjendråbeopløsning i ét hovedstudie blandt 32 patienter fra 2-årsalderen med cystinose. Virkningen blev hovedsagelig bedømt på reduktionen af cystinkrystaller i hornhinden ved mikroskopi og kvantificeret ved hjælp af den såkaldte IVCM-score. Scoren går fra 0 til 28, hvor 0 svarer til ingen krystaller. Ved studiets start havde patienterne i begge grupper en gennemsnitlig score på 10. Cystadrops viste sig at være mere effektivt end sammenligningslægemidlet til at reducere 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).

Yderligere data fra fem børn under 2 år indikerede, at Cystadrops kan reducere aflejringer af cystinkrystaller i hornhinden hos børn fra 6-månedersalderen. Desuden er sikkerheden ved Cystadrops hos børn påvist at svare til sikkerheden hos voksne.

Hvilke risici er der forbundet med Cystadrops?

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

De mest almindelige 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 tåreflåd, sløret syn og okulær hyperæmi (røde øjne). Disse bivirkninger er normalt milde/moderate og forbigående.

Hvorfor er Cystadrops godkendt i EU?

Øjendråbeopløsninger med mercaptamin blandet lokalt på apoteker og hospitaler er blevet anvendt i mange år til behandling af øjensymptomer på cystinose. Desuden har Cystadrops i et studie vist sig at være effektivt til at reducere cystinkrystaller i hornhinden. Lægemidlet har også forbedret andre symptomer på cystinose såsom fotofobi. Hvad angår sikkerheden, forekommer der ofte bivirkninger relateret til øjet, men de er normalt håndterbare.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Cystadrops opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Cystadrops anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Cystadrops anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Cystadrops løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Cystadrops vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Cystadrops

Cystadrops fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den 19. januar 2017.

Yderligere information om Cystadrops findes på agenturets websted:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 06-2025.