



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*Mercaptamin*)

Übersicht über Cystadrops und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Cystadrops und wofür wird es angewendet?

Cystadrops ist ein Augenarzneimittel zur Anwendung bei Patienten ab einem Alter von 6 Monaten, die an Zystinose leiden. Zystinose ist eine Erbkrankheit, bei sich der natürliche Wirkstoff Cystin im Körper sammelt, der schädliche Kristalle formt, insbesondere in den Nieren und der Hornhaut (die transparente Schicht vorne im Auge). Cystadrops wird angewendet, um die Ansammlung von Cystinkristallen in der Hornhaut zu reduzieren.

Da es nur wenige Patienten mit Zystinose gibt, gilt die Erkrankung als selten, und Cystadrops wurde am 7. November 2008 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Cystadrops enthält den Wirkstoff Mercaptamin (auch Cysteamin genannt).

Wie wird Cystadrops angewendet?

Cystadrops ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich. Die Behandlung sollte unter Aufsicht von einem in der Behandlung von Zystinose erfahrenen Arzt eingeleitet werden.

Cystadrops ist als Augentropfen erhältlich. Die empfohlene Dosis beträgt 4-mal täglich 1 Tropfen pro Auge während der Wachstunden. Der Arzt kann die Dosis auf der Grundlage der Augenuntersuchungen schrittweise auf eine tägliche Dosis von 1 Tropfen pro Auge verringern. Die Behandlung sollte langfristig weitergeführt werden.

Nähere Informationen sind der Packungsbeilage zu entnehmen.

Wie wirkt Cystadrops?

Eine Ansammlung von Cystinkristallen in den Hornhautzellen kann zu schwerwiegender Einschränkung des Sehvermögens führen. Der Wirkstoff in Cystadrops, Mercaptamin, reagiert mit dem Cystin, um es aufzulösen und Stoffe zu bilden, die aus den Zellen entfernt werden können. Durch die Anwendung des

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.

Arzneimittels im Auge reduziert sich der Cystingehalt in den Hornhautzellen und begrenzt somit das Ausmaß der Augenschädigung.

Welchen Nutzen hat Cystadrops in den Studien gezeigt?

Cystadrops wurde in einer Hauptstudie mit 32 Patienten ab zwei Jahren mit Zystinose mit einer anderen Augentropfenlösung verglichen, bei der das Mercaptamin weniger hoch konzentriert ist. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit basierte auf der Verringerung der Cystinkristalle in der Hornhaut, wie sie unter dem Mikroskop zu sehen waren und im Rahmen der konfokalen In-vivo-Mikroskopie quantifiziert wurden (IVCM-Score). Das Score-Intervall reicht von 0 bis 28, wobei 0 für keine Kristalle steht. Zu Beginn der Behandlung wiesen Patienten in beiden Gruppen einen durchschnittlichen Wert von 10 auf. Hinsichtlich der Verringerung der Cystinkristalle in der Hornhaut zeigte sich Cystadrops nach 3-monatiger Behandlung wirksamer als das Vergleichsarzneimittel: bei Patienten, die Cystadrops anwendeten, sank der IVCM-Score-Wert um 4,6 Punkte im Vergleich zu 0,5 Punkten bei Patienten, die das Vergleichsarzneimittel anwendeten. Die Behandlung mit Cystadrops führte auch zu einer Verringerung von Photophobie (Empfindlichkeit der Augen gegenüber Licht).

Zusätzliche Daten von fünf Kindern unter 2 Jahren deuten darauf hin, dass Cystadrops die Ablagerung von Cystinkristallen in der Hornhaut bei Kindern ab einem Alter von 6 Monaten verringern kann. Darüber hinaus wurde gezeigt, dass die Sicherheit von Cystadrops bei Kindern der bei Erwachsenen ähnlich ist.

Welche Risiken sind mit Cystadrops verbunden?

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Cystadrops berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Cystadrops (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) betreffen das Auge und umfassen Schmerzen, Juckreiz und Reizung im Auge, erhöhte Tränensekretion (tränenende Augen), verschwommenes Sehen und okuläre Hyperämie (rote Augen). Diese Nebenwirkungen sind in der Regel leicht oder mäßig und nicht von Dauer.

Warum wurde Cystadrops in der EU zugelassen?

Augentropfenlösungen mit Mercaptamin werden seit vielen Jahren lokal in Apotheken oder Krankenhäusern für die Behandlung von Augensymptomen bei Zystinose hergestellt. Darüber hinaus hat eine Studie gezeigt, dass Cystadrops wirksam zur Verringerung der Cystinkristalle beiträgt. Das Arzneimittel führte auch zur Linderung anderer Zystinose-Symptome, z. B. Photophobie. Hinsichtlich der Sicherheit sind die Nebenwirkungen zwar sehr häufig, aber gewöhnlich beherrschbar.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Cystadrops gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, es für die Anwendung in der EU zuzulassen.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Cystadrops ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Cystadrops, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Cystadrops kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Cystadrops werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Cystadrops

Cystadrops erhielt am 19. Januar 2017 eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Cystadrops finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

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

Diese Übersicht wurde zuletzt im 06-2025 aktualisiert.