



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

---

# Cystadrops

## Mercaptamin

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für Cystadrops. Hierin wird erläutert, wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von Cystadrops zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über Cystadrops benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

### Was ist Cystadrops und wofür wird es angewendet?

Cystadrops ist ein Augenarzneimittel zur Anwendung bei Patienten ab zwei Jahren mit Cystinose. Cystinose 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 Cystinose gibt, gilt die Erkrankung als selten, und Cystadrops wurde am 7. November 2008 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen.

Cystadrops enthält den aktiven 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 Cystinose 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

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



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 Seevermögens 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 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 Cystinose 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).

## **Welche Risiken sind mit Cystadrops verbunden?**

Sehr häufige Nebenwirkungen (die mehr als 1 von 10 Personen betreffen können) beziehen sich auf das Auge, einschließlich Augenschmerzen, Augenjucken, Augenreizung, verstärkt tränende Augen, verschwommenes Sehen und Hyperämie der Augen (Augenrötung). Diese Nebenwirkungen sind in der Regel leicht oder mäßig und nicht von Dauer.

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

## **Warum wurde Cystadrops zugelassen?**

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

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Agentur gelangte 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.

### **Weitere Informationen über Cystadrops**

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für Cystadrops finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit Cystadrops benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Die Zusammenfassung des Gutachtens des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden zu Cystadrops finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).