



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Cystadrops

mercaptamine

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Cystadrops. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Cystadrops.

Lees de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor praktische informatie over het gebruik van Cystadrops.

Wat is Cystadrops en wanneer wordt het voorgeschreven?

Cystadrops is een geneesmiddel voor de ogen dat wordt gebruikt bij cystinose-patiënten vanaf de leeftijd van twee jaar. Cystinose is een erfelijke aandoening waarbij de natuurlijke stof cystine zich in het lichaam stapelt en schadelijke kristallen vormt, vooral in de nieren en het hoornvlies (het doorzichtige vlies voor het oog). Cystadrops wordt toegediend om de vorming van cystinekristallen op het hoornvlies te verminderen.

Aangezien het aantal patiënten met cystinose klein is, wordt de ziekte als 'zeldzaam' beschouwd en werd Cystadrops op 7 november 2008 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen).

Cystadrops bevat de werkzame stof mercaptamine (ook bekend als cysteamine).

Hoe wordt Cystadrops gebruikt?

Cystadrops is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van cystinose.

Cystadrops is verkrijgbaar in de vorm van oogdruppels. De aanbevolen dosis is viermaal per dag één druppel in elk oog buiten de slaapuren. Afhankelijk van de resultaten van oogonderzoek kan de arts de

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



dosis geleidelijk aan verminderen tot één druppel per dag. De behandeling moet lange tijd worden voortgezet.

Zie de bijsluiter voor meer informatie.

Hoe werkt Cystadrops?

De ophoping van cystinekristallen in cellen van het hoornvlies kan de ogen beschadigen en ernstige problemen met het gezichtsvermogen veroorzaken. De werkzame stof in Cystadrops, mercaptamine, reageert zodanig met cystine dat dit oplost en stoffen vormt die uit de cellen kunnen worden verwijderd. Wanneer het geneesmiddel in het oog wordt gedruppeld, neemt de hoeveelheid cystine in de cellen van het hoornvlies af, waardoor de ogen minder beschadigd raken.

Welke voordelen bleek Cystadrops tijdens studies te hebben?

In één grote studie onder 32 cystinose-patiënten vanaf de leeftijd van twee jaar werd Cystadrops vergeleken met een oogdruppeloplossing die mercaptamine in een geringere concentratie bevatte. De belangrijkste graadmeter voor de werkzaamheid was gebaseerd op een vermindering van het aantal cystinekristallen in het hoornvlies, zoals waargenomen onder de microscoop en gemeten met behulp van de zogeheten IVCM-score. De score loopt van 0 tot 28, waarbij 0 overeenkomt met afwezigheid van kristallen. Bij aanvang van de studie hadden de patiënten in beide groepen een gemiddelde score van 10.

Na drie maanden behandeling bleek Cystadrops werkzamer dan het vergelijkingsmiddel bij het verminderen van het aantal cystinekristallen in het hoornvlies: bij patiënten die Cystadrops kregen nam de IVCM-score met 4,6 punten af, tegenover een vermindering met 0,5 punten bij patiënten in de vergelijkingsgroep. Behandeling met Cystadrops leidde ook tot minder last van fotofobie (overgevoeligheid van de ogen voor licht).

Welke risico's houdt het gebruik van Cystadrops in?

De meest voorkomende bijwerkingen van Cystadrops (die meer dan 1 op de 10 patiënten kunnen treffen) houden verband met het oog, zoals pijn, jeuk en irritatie in het oog, meer tranenvocht (waterige ogen), wazig zien en rode ogen. De bijwerkingen waren doorgaans mild of matig van aard en hielden niet aan.

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van alle bijwerkingen en beperkende voorwaarden van Cystadrops.

Waarom is Cystadrops goedgekeurd?

Oogdruppels met mercaptamine die ter plaatse in apotheken of ziekenhuizen worden gemaakt, worden al jarenlang toegediend tegen symptomen van cystinose in het oog. Voorts bleek Cystadrops in een studie werkzaam te zijn en het aantal cystinekristallen in het hoornvlies te verminderen. Het geneesmiddel verbeterde ook andere symptomen van cystinose, zoals fotofobie. Wat de veiligheid betreft, zijn bijwerkingen in en rond het oog weliswaar zeer frequent maar meestal goed onder controle te houden.

Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Cystadrops groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd dit middel voor gebruik in de EU goed te keuren.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Cystadrops te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Cystadrops, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Overige informatie over Cystadrops

Het volledige EPAR voor Cystadrops is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Cystadrops.

De samenvatting van het advies van het Comité voor weesgeneesmiddelen over Cystadrops is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).