



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*mercaptamine*)

Aperçu de Cystadrops et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Cystadrops et dans quel cas est-il utilisé?

Cystadrops est un médicament pour les yeux utilisé chez les patients âgés de 6 mois et plus atteints de cystinose. La cystinose est une maladie héréditaire caractérisée par l'accumulation dans l'organisme d'une substance naturelle, appelée la cystine, sous la forme de cristaux dommageables, plus particulièrement dans les reins et la cornée (la couche transparente recouvrant l'œil). Cystadrops est utilisé pour réduire l'accumulation de cristaux de cystine dans la cornée.

Étant donné le faible nombre de patients touchés par la cystinose, la maladie est dite «rare». C'est pourquoi Cystadrops a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares) le 7 novembre 2008.

Cystadrops contient la substance active mercaptamine (également appelée cystéamine).

Comment Cystadrops est-il utilisé?

Cystadrops n'est délivré que sur ordonnance et le traitement ne doit être instauré que sous la surveillance d'un médecin expérimenté dans la gestion de la cystinose.

Cystadrops est disponible sous la forme de collyre. La dose recommandée est d'une goutte dans chaque œil quatre fois par jour pendant les heures d'éveil. Le médecin peut réduire cette dose progressivement à une goutte par jour, en fonction des résultats des examens ophtalmologiques. Le traitement doit être poursuivi à long terme.

Pour plus d'informations, voir la notice.

Comment Cystadrops agit-il?

L'accumulation de cristaux de cystine à l'intérieur des cellules de la cornée peut provoquer de graves problèmes de vue. La substance active présente dans Cystadrops, la mercaptamine, réagit avec la

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



cystine pour la dissoudre et former des substances pouvant être retirées des cellules. Lors de l'application du médicament dans l'œil, la quantité de cystine dans les cellules de la cornée baisse, ce qui limite les dommages à l'œil.

Quels sont les bénéfices de Cystadrops démontrés au cours des études?

Cystadrops a été comparé à un autre collyre dont la concentration de mercaptamine était inférieure, dans le cadre d'une étude principale portant sur 32 patients âgés de deux ans ou plus atteints de cystinose. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était basé sur la diminution du taux de cristaux de cystine dans la cornée telle qu'observée au microscope et quantifiée au moyen d'un score obtenu par MCIV (microscopie confocale in vivo). Ce score est compris entre 0 et 28, 0 correspondant à l'absence de cristaux. Au début de l'étude, les patients des deux groupes avaient un score de 10. Cystadrops s'est montré plus efficace que le médicament de comparaison pour diminuer le taux de cristaux de cystine dans la cornée après trois mois de traitement: chez les patients traités par Cystadrops, le score MCIV a diminué de 4,6 points, contre 0,5 point chez les patients traités par le médicament de comparaison. Le traitement par Cystadrops a également entraîné une réduction de la photophobie (gêne oculaire à la lumière vive).

Des données supplémentaires concernant cinq enfants de moins de 2 ans ont indiqué que Cystadrops pouvait réduire les dépôts de cristaux de cystine dans la cornée chez les enfants à partir de l'âge de 6 mois. En outre, il a été démontré que la sécurité de Cystadrops chez les enfants était similaire à celle observée chez les adultes.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Cystadrops?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Cystadrops, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Cystadrops (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont liés aux yeux et sont notamment les suivants: douleur, démangeaisons et irritation des yeux, augmentation des larmoiements (yeux qui pleurent), vision floue et hyperémie oculaire (yeux rouges). Ces effets sont généralement d'intensité légère ou modérée et ne durent pas.

Pourquoi Cystadrops est-il autorisé dans l'UE?

Les collyres à base de mercaptamine préparés localement dans des pharmacies ou des hôpitaux sont utilisés depuis de nombreuses années pour la gestion des symptômes oculaires de la cystinose. En outre, dans une étude, Cystadrops s'est montré efficace pour diminuer le taux de cristaux de cystine dans la cornée. Le médicament a également amélioré d'autres symptômes de la cystinose, comme la photophobie. En ce qui concerne la sécurité, bien que les effets indésirables touchant les yeux soient très fréquents, ils peuvent généralement être gérés.

Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Cystadrops sont supérieurs à ses risques et a recommandé que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE soit approuvée.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Cystadrops?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels des soins de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Cystadrops ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Cystadrops sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Cystadrops sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Cystadrops:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Cystadrops, le 19 janvier 2017.

De plus amples informations sur Cystadrops sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Dernière mise à jour du présent aperçu: 06-2025.