



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Résumé EPAR à l'intention du public

Cystadrops

mercaptamine

Le présent document est un résumé du rapport européen public d'évaluation (EPAR) relatif à Cystadrops. Il explique de quelle manière l'évaluation du médicament à laquelle l'Agence a procédé l'a conduite à recommander son autorisation au sein de l'UE ainsi que ses conditions d'utilisation. Il ne vise pas à fournir des conseils pratiques sur la façon d'utiliser Cystadrops.

Pour obtenir des informations pratiques sur l'utilisation de Cystadrops, les patients sont invités à lire la notice ou à contacter leur médecin ou leur pharmacien.

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

Cystadrops est un médicament à usage ophtalmique utilisé chez les patients âgés de deux ans ou plus souffrant 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 le principe actif 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

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



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. Le principe actif présent dans Cystadrops, la mercaptamine, réagit avec la 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 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 par rapport à 0,5 points 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).

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

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Cystadrops (qui peuvent toucher plus d'un patient sur 10) sont liés aux yeux et comprennent: 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.

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

Pourquoi Cystadrops est-il approuvé?

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.

Le comité des médicaments à usage humain (CHMP) de l'Agence 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.

Autres informations relatives à Cystadrops

L'EPAR complet relatif à Cystadrops est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Pour plus d'informations sur le traitement par Cystadrops, veuillez consulter la notice (également comprise dans l'EPAR) ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Le résumé de l'avis du comité des médicaments orphelins relatif à Cystadrops est disponible sur le site web de l'Agence, sous: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).