



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/003769

Cystadrops (*mercaptamine*)

Een overzicht van Cystadrops en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Cystadrops en wanneer wordt het voorgeschreven?

Cystadrops is een geneesmiddel voor de ogen dat wordt gebruikt bij cystinosepatiënten vanaf de leeftijd van 6 maanden. 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 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

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.

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 de studies te hebben?

In één grote studie onder 32 cystinosepatiënten vanaf de leeftijd van 2 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).

Uit aanvullende gegevens betreffende vijf kinderen jonger dan 2 jaar bleek dat Cystadrops de cystinekristalafzettingen in het hoornvlies bij kinderen vanaf 6 maanden kan verminderen. Bovendien bleek de veiligheid van Cystadrops voor kinderen vergelijkbaar te zijn met de veiligheid voor volwassenen.

Welke risico's houdt het gebruik van Cystadrops in?

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

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

Waarom is Cystadrops geregistreerd in de EU?

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 Europees Geneesmiddelenbureau heeft derhalve geconcludeerd dat de voordelen van Cystadrops groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

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.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Cystadrops continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Cystadrops worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Cystadrops

Op 19 januari 2017 is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Cystadrops verleend.

Meer informatie over Cystadrops is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/cystadrops.

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 06-2025.