

SYNTHESE D'AVIS DE LA COMMISSION DE LA TRANSPARENCE

CYSTADROPS (chlorhydrate de mercaptamine (cystéamine), médicament ophtalmologique



Intérêt clinique important et progrès thérapeutique mineur dans le traitement des dépôts cornéens de cystine chez les adultes et les enfants de plus de 2 ans souffrant de cystinose

L'essentiel

- ▶ CYSTADROPS (cystéamine à 0,55 %) a l'AMM dans le traitement des dépôts cornéens de cystine chez les adultes et les enfants de plus de 2 ans souffrant de cystinose. Avant cette autorisation, les patients français étaient traités par une préparation hospitalière de cystéamine à 0,1 % fabriquée par l'AGEPS; cette préparation n'est désormais plus produite.
- ▶ Une étude a montré la supériorité à 90 jours de CYSTADROPS versus le collyre de chlorhydrate de cystéamine à 0,10 % préparé par l'AGEPS sur un critère de substitution (réduction de la densité des dépôts cornéens de cystine) avec une quantité d'effet supplémentaire modeste.
- ▶ L'évolution de la morbidité oculaire à long terme avec CYSTADROPS n'est pas connue en l'absence de donnée robuste.
- ▶ CYSTADROPS contient du chlorure de benzalkonium utilisé comme conservateur et pouvant induire du fait d'une administration chronique, des effets indésirables inflammatoires conjonctivaux et une toxicité de la surface oculaire.

Stratégie thérapeutique

- La prise en charge de l'atteinte oculaire dans la cystinose se fait par instillation journalière d'un collyre à base de cystéamine. La cystéamine administrée par voie orale n'ayant pas d'action sur les dépôts cornéens. Elle peut nécessiter également le port de lunettes sombres contre la photophobie.
- **Place du médicament dans la stratégie thérapeutique**
CYSTADROPS est un traitement à visée préventive des dépôts cornéens de cystine, de 1^{re} intention chez les patients âgés de 2 ans et plus atteints de cystinose.

Données cliniques

- Une étude a comparé, en ouvert, l'efficacité de CYSTADROPS (cystéamine 0,55 %) par rapport à la préparation hospitalière de l'AGEPS (cystéamine 0,1 %) chez 32 patients atteints de cystinose, âgés de 2 ans et plus. La réduction absolue du score total IVCN (densité de dépôts de cystine cornéens) à 90 jours (critère de jugement principal) a été supérieure dans le groupe CYSTADROPS par rapport au groupe cystéamine 0,1 %, avec une différence moyenne de variation de ce score entre les groupes de -3,8 points sur une échelle variant de 0 à 28 ($p < 0,0001$).
- Tous les patients du groupe CYSTADROPS ont rapporté au moins un événement indésirable local transitoire et spécifique lors de l'instillation (picotements, rougeurs, échauffement, et vision trouble), ce qui était plus fréquent que dans le groupe traité par la préparation hospitalière. Un cas de néovascularisation cornéenne a été considéré comme possiblement lié au traitement par CYSTADROPS.

Conditions particulières de prescription

- Médicament orphelin- Médicament à prescription hospitalière
- Le traitement par CYSTRADROPS doit être instauré sous la surveillance d'un médecin expérimenté dans la prise en charge de la cystinose

Intérêt du médicament

- Le service médical rendu* par CYSTADROPS est important
- CYSTADROPS apporte une amélioration du service médical rendu** mineure (ASMR IV) dans le traitement des dépôts cornéens de cystine chez les adultes et les enfants de plus de 2 ans souffrant de cystinose.
- Avis favorable à la prise en charge à l'hôpital.



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

Ce document a été élaboré sur la base de l'avis de la Commission de la transparence du 13 décembre 2017 (CT-16045) disponible sur www.has-sante.fr

* Le service médical rendu par un médicament (SMR) correspond à son intérêt en fonction notamment de ses performances cliniques et de la gravité de la maladie traitée. La Commission de la Transparence de la HAS évalue le SMR, qui peut être important, modéré, faible, ou insuffisant pour que le médicament soit pris en charge par la collectivité.

** L'amélioration du service médical rendu (ASMR) correspond au progrès thérapeutique apporté par un médicament par rapport aux traitements existants. La Commission de la transparence de la HAS évalue le niveau d'ASMR, cotée de I, majeure, à IV, mineure. Une ASMR de niveau V (équivalent de « pas d'ASMR ») signifie « absence de progrès thérapeutique »