



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31. května 2024
EMA/243052/2024
EMA/H/C/002548/II/0044

Stažení žádosti o změnu registrace přípravku Scenesse (afamelanotid)

Společnost Clinuvel Europe Limited stáhla svou žádost o změnu registrace přípravku Scenesse, ve které požadovala, aby jeho použití bylo rozšířeno na dospívající s erytropoetickou protoporfyrií, což je vzácné onemocnění, které způsobuje nesnášenlivost vůči světlu.

Společnost svou žádost stáhla dne 24. dubna 2024.

Co je přípravek Scenesse a k čemu se používá?

Scenesse je léčivý přípravek, který se používá k léčbě dospělých s erytropoetickou protoporfyrií. U pacientů s erytropoetickou protoporfyrií může expozice světlu vést k příznakům, jako je bolest a otok kůže, což jim znemožňuje trávit čas venku nebo na místech s jasným světlem. Přípravek Scenesse se používá k prevenci nebo zmírnění těchto příznaků, aby tito pacienti mohli vést normální život.

Přípravek Scenesse je v EU registrován od prosince 2014.

Obsahuje léčivou látku afamelanotid. Je dostupný ve formě implantátů, které se jednou za 2 měsíce injekčně zavádějí pod kůži pacienta, a to před obdobím s vysokou mírou vystavení slunečnímu svitu a během tohoto období, např. od jara do podzimu. Počet implantátů za rok závisí na tom, jak velká ochrana před sluncem je zapotřebí. Doporučují se 3 implantáty za rok, přičemž maximálně 4.

Přípravek Scenesse byl dne 8. května 2008 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Měl být určen k léčbě erytropoetické protoporfyrie. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

Další informace o použití přípravku Scenesse jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse.

O jakou změnu společnost žádala?

Společnost žádala o rozšíření použití přípravku Scenesse na dospívající ve věku od 12 do 17 let s erytropoetickou protoporfyrií. V průběhu hodnocení společnost upravila svoji žádost na dospívající ve věku od 15 do 17 let s tělesnou hmotností nad 60 kg.



Jak přípravek Scenesse působí?

Pacienti s erythropoetickou protoporfyrií mají vysoké hladiny látky zvané protoporfyrin IX. Při vystavení světlu způsobuje protoporfyrin IX bolestivé kožní reakce pozorované u osob s tímto onemocněním.

Léčivá látka v přípravku Scenesse, afamelanotid, stimuluje tvorbu hnědočerného pigmentu v kůži známého jako eumelanin, který se vytváří při vystavení slunečnímu svitu a chrání kožní buňky před škodlivými paprsky. Stimulací tvorby eumelaninu v kůži přípravek Scenesse snižuje množství světla absorbovaného kůží, čímž pomáhá při prevenci nebo zmírňování těchto bolestivých reakcí.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila údaje ze studie vycházející z údajů v registrech, která zahrnovala 7 dospívajících ve věku od 15 do 17 let s erythropoetickou protoporfyrií, kteří byli léčeni přípravkem Scenesse ve formě podávané dospělým (implantáty, které jsou injekčně zaváděny pod kůži v pravidelných intervalech). Tyto údaje vycházejí z hlášení pacientů ohledně opatření na ochranu proti slunečnímu svitu, které použili, a z odpovědí pacientů na dotazník týkající se kvality života.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Žádost byla stažena poté, co Evropská agentura pro léčivé přípravky posoudila informace předložené společností a vypracovala otázky. Agentura posoudila odpovědi společnosti na otázky, některé body však zůstaly nedořešené.

Jaké bylo doporučení agentury v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných informací a odpovědí společnosti na otázky agentury měla agentura v době stažení žádosti určité pochybnosti a její prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Scenesse nemůže být schválen k léčbě dospívajících s erythropoetickou protoporfyrií.

Agentura měla za to, že společnost neposkytla dostatek spolehlivých důkazů ke stanovení účinnosti a bezpečnosti přípravku Scenesse u dospívajících ani ke stanovení nejvhodnější dávky pro tuto věkovou skupinu. Dospívajícím zařazeným do studie byl přípravek Scenesse podáván ve stejné formě jako dospělým. Nebyly k dispozici žádné údaje o tom, jak je léčivý přípravek u dospívajících vstřebáván, modifikován a vylučován z těla, ani o jeho účincích v těle u této skupiny pacientů. Údaje o bezpečnosti přípravku Scenesse u dospívajících byly rovněž velmi omezené.

Agentura proto zastávala názor, že poměr přínosů a rizik přípravku Scenesse při léčbě dospívajících s erythropoetickou protoporfyrií nelze stanovit.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že svou žádost stahuje, neboť není možné poskytnout úplné údaje o bezpečnosti a účinnosti, které agentura očekává.

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Scenesse podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala agenturu, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou zařazení do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Scenesse podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.

Pokud jste zařazeni do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Scenesse podáván v rámci léčby z humánních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.

Jaké jsou důsledky pro použití přípravku Scenesse k léčbě dospělých s erytropoetickou protoporfyrií?

Přípravek Scenesse je nadále registrován pro dospělé s erytropoetickou protoporfyrií.