



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tilbagetrækning af ansøgningen om ændring af markedsføringstilladelsen for Scenesse (afamelanotid)

Clinuvel Europe Limited har tilbagetrukket sin ansøgning om ændring af markedsføringstilladelsen for Scenesse med henblik på at udvide dets anvendelse til at omfatte unge med erythropoietisk protoporfyri (EPP), der er en sjælden sygdom, som forårsager intolerance over for lys.

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 24. april 2024.

Hvad er Scenesse, og hvad anvendes det til?

Scenesse er et lægemiddel til behandling af voksne med EPP. Hos patienter med EPP kan udsættelse for lys føre til symptomer såsom smerter og hævelse i huden, hvilket forhindrer dem i at kunne opholde sig udendørs eller på steder med stærkt lys. Scenesse anvendes til at forebygge eller reducere disse symptomer, så patienterne kan føre et mere normalt liv.

Scenesse har været godkendt i EU siden december 2014.

Scenesse indeholder det aktive stof afamelanotid. Lægemidlet fås som implantater, der indsprøjtes under huden én gang hver anden måned, før og i perioder med stor eksponering for sollys, f.eks. fra forår til efterår. Antallet af implantater pr. år afhænger af, hvor meget beskyttelse mod solen der er brug for. Der anbefales tre implantater pr. år; det maksimale antal er 4.

Scenesse blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" til behandling af EPP den 8. maj 2008. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes på agenturets websted: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

Yderligere information om anvendelsen af Scenesse findes på agenturets websted: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse.

Hvilken ændring havde virksomheden ansøgt om?

Virksomheden ansøgte om at udvide anvendelsen af Scenesse til at omfatte unge i alderen 12-17 år med EPP. Under vurderingen ændrede virksomheden anmodningen til unge i alderen 15-17 år med en vægt på over 60 kg.



Hvordan virker Scenesse?

Patienter med EPP har høje niveauer af et stof kaldet protoporphyrin IX. Ved eksponering for sollys forårsager protoporphyrin IX de smertefulde hudreaktioner, der ses hos personer med denne sygdom.

Det aktive stof i Scenesse, afamelanotid, stimulerer produktion af et brun-sort pigment i huden kaldet eumelanin, som dannes under eksponering for sollys for at beskytte hudcellerne mod skadelige lysstråler. Ved at stimulere produktionen af eumelanin i huden reducerer Scenesse mængde lys, der absorberes af huden, og bidrager dermed til at forebygge eller mindske de smertefulde reaktioner.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde data fra et registerstudie, der omfattede 7 unge i alderen 15-17 år med EPP, som blev behandlet med den voksne formulering af Scenesse (implantater, der indsprøjtes under huden med regelmæssige mellemrum). Dataene er baseret på indberetninger fra patienter, om hvilke solbeskyttelsesforanstaltninger de brugte, og på patientsvar fra et spørgeskema om livskvalitet.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at Det Europæiske Lægemiddelagentur havde vurderet den dokumentation, som virksomheden havde fremlagt, og udarbejdet lister med spørgsmål. Efter agenturet havde vurderet virksomhedens svar på spørgsmålene, var der fortsat visse uafklarede punkter.

Hvad anbefalede agenturet på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene og virksomhedens svar på agenturets spørgsmål på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde agenturet visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Scenesse ikke kunne være blevet godkendt til behandling af unge med EPP.

Agenturet var af den opfattelse, at virksomheden ikke havde fremlagt tilstrækkelig og solid evidens til at bestemme effektiviteten og sikkerheden af Scenesse hos unge eller til at fastlægge den mest hensigtsmæssige dosis til anvendelse hos denne aldersgruppe. De unge, der deltog i studiet, fik den voksne formulering af Scenesse. Der forelå ingen data om, hvordan lægemidlet absorberes, modificeres og fjernes fra kroppen hos unge og om dets virkninger i kroppen hos denne patientgruppe. Dataene om sikkerheden ved Scenesse hos unge var også meget begrænsede.

Agenturet var derfor af den opfattelse, at benefit/risk-forholdet for Scenesse ved behandlingen af unge med EPP ikke kunne fastslås.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den trak sin ansøgning tilbage, da det ikke var muligt at fremlægge de omfattende data vedrørende sikkerhed og virkning, som agenturet forventede.

Har denne tilbagetrækning betydning for patienter, der deltager i kliniske forsøg eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har informeret agenturet om, at der ikke er nogen konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske forsøg med Scenese eller i programmer for anvendelse af Scenese med særlig udleveringstilladelse.

Hvis du deltager i et klinisk forsøg eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.

Hvad sker der med Scenese til behandling af voksne med EPP?

Scenese er fortsat godkendt til behandling af voksne med EPP.