

1. april 2016
EMA/227275/2016
EMA/H/C/004038

Spørgsmål og svar

Afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Dropcys (mercaptaminhydrochlorid)

Resultat af den fornyede overvejelse

Den 17. december 2015 vedtog Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP) en negativ udtalelse, som anbefalede afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for lægemidlet Dropcys, der er beregnet til at forebygge og behandle dannelsen af aminosyren cystin i hornhinden (den gennemsigtige hinde, der dækker det forreste af øjet). Den virksomhed, der har søgt om markedsføringstilladelse i EU, er Lucane Pharma.

Ansøgeren har anmodet om en fornyet overvejelse af udtalelsen. CHMP gennemgik begrundelsen for anmodningen og foretog en fornyet overvejelse af den oprindelige udtalelse, men bekræftede den 1. april 2016 afslaget på ansøgningen om markedsføringstilladelse.

Hvad er Dropcys?

Dropcys er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof mercaptaminhydrochlorid (også kaldet cysteaminhydrochlorid). Det var hensigten, at det skulle markedsføres som pulver og opløsningsmiddel, der skulle blandes til en opløsning og anvendes som øjendråber.

Hvad forventedes Dropcys anvendt til?

Dropcys skulle anvendes til at forebygge og behandle cystinose i hornhinden. Cystinose er en sjælden, arvelig sygdom, der skyldes ophobning af stoffet cystin, der danner krystaller inde i cellerne, navnlig celler i hornhinden og nyrerne.

Dropcys blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 15. oktober 2014 til behandling af cystinose. Yderligere oplysninger om udpegelsen til lægemiddel til sjældne sygdomme findes her: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Lægemidler, der indeholder mercaptaminhydrochlorid, er tilladt i EU til anvendelse gennem munden ved behandling af cystinose. Øjenpræparater med mercaptamin blandes lokalt og anvendes til behandling af øjensymptomer.

Hvordan forventedes Dropcys at virke?

Dannelsen af cystinkrystaller i hornhindecellerne kan beskadige øjet og forårsage alvorlige synsforstyrrelser. Det aktive stof i Dropcys, mercaptaminhydrochlorid, skulle reagere med og opløse cystin og danne stoffer, der kunne fjernes fra cellerne. Ved lægemidlets kontakt med øjet skulle mængden af cystin i hornhindens celler reduceres og øjenbeskadigelsen dermed begrænses.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Da mercaptamin er blevet brugt i mange år til at behandle cystinose og er almindeligt anerkendt, fremlagde ansøgeren data fra den medicinske litteratur til at understøtte ansøgningen for Dropcys.

Hvori bestod CHMP's vigtigste betænkeligheder, der førte til afslaget?

CHMP vurderede, at de undersøgelser fra den medicinske litteratur, som ansøgeren havde fremlagt som støtte, var utilstrækkelige. Selv om administration af mercaptamin-øjendråber til behandling af aflejringer i hornhinden synes at være tilstrækkeligt underbygget af litteraturen, aktuelle kliniske anbefalinger og brug som standardbehandling på hospitaler, foreligger der ikke mange data til at understøtte den mercaptamin-koncentration, der anvendes i Dropcys (0,1 % opløsning). Desuden havde CHMP betænkeligheder med hensyn til andre af lægemidlets indholdsstoffer og deres indvirkning på den langsigtede sikkerhed, navnlig hos børn, og med hensyn til, hvor stabil og steril opløsningen er, når den er klargjort.

CHMP var derfor af den opfattelse, at fordelene ved Dropcys ikke opvejede risiciene, og anbefalede afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse.

I forbindelse med revurderingen har CHMP set på virksomhedens data igen. Udvalget bekræfter sin udtalelse om, at virkningen af Dropcys til behandling af aflejringer i hornhinden ikke er tilstrækkeligt dokumenteret, og at problemstillingerne med hensyn til lægemidlets formulering, langsigtede sikkerhed og sterilitet stadig ikke er løst. CHMP bekræfter derfor sin tidligere anbefaling om, at der bør gives afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for lægemidlet.

Hvilke konsekvenser har afslaget for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har til CHMP oplyst, at der aktuelt ikke gennemføres kliniske undersøgelser eller programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse for Dropcys.