



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 Μαΐου 2024  
EMA/243052/2024  
EMA/H/C/002548/II/0044

## Απόσυρση της αίτησης για τροποποίηση της άδειας κυκλοφορίας του Scenesse (αφαμελανοτιδίνη)

Η Clinuvel Europe Limited απέσυρε την αίτησή της για τροποποίηση της άδειας κυκλοφορίας του Scenesse προκειμένου να επεκταθεί η χρήση του σε εφήβους που πάσχουν από ερυθροποιητική πρωτοπορφυρία (EPP), μια σπάνια νόσο που προκαλεί φωτοτοξικότητα.

Η εταιρεία απέσυρε την αίτηση στις 24 Απριλίου 2024.

### Τι είναι το Scenesse και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Scenesse είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ενηλίκων με EPP. Σε ασθενείς με ερυθροποιητική πρωτοπορφυρία, η έκθεση στο φως μπορεί να προκαλέσει συμπτώματα όπως πόνο και οίδημα του δέρματος, τα οποία τους εμποδίζουν να παραμείνουν σε εξωτερικό χώρο ή σε σημεία με έντονο φως. Το Scenesse χρησιμοποιείται για την πρόληψη ή τη μείωση αυτών των συμπτωμάτων, ώστε οι εν λόγω ασθενείς να μπορούν να ζήσουν περισσότερο φυσιολογικά.

Το Scenesse έχει λάβει άδεια κυκλοφορίας στην ΕΕ από τον Δεκέμβριο του 2014.

Το Scenesse περιέχει τη δραστική ουσία αφαμελανοτιδίνη. Το φάρμακο διατίθεται υπό μορφή εμφυτευμάτων, τα οποία χορηγούνται με υποδόρια ένεση στον ασθενή μία φορά κάθε 2 μήνες, πριν και κατά τη διάρκεια περιόδων υψηλής έκθεσης σε ηλιακό φως, π.χ. από την άνοιξη έως το φθινόπωρο. Ο αριθμός των εμφυτευμάτων ετησίως εξαρτάται από τον απαιτούμενο βαθμό προστασίας από τον ήλιο. Συνιστώνται τρία εμφυτεύματα ετησίως· ο μέγιστος αριθμός είναι 4.

Το Scenesse χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 8 Μαΐου 2008, για το EPP. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541).

Περισσότερες πληροφορίες για τις χρήσεις του Scenesse διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση [ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse](http://ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse)

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Ποια αλλαγή είχε αιτηθεί η παρασκευάστρια εταιρεία;**

Η εταιρεία υπέβαλε αίτηση για την επέκταση της χρήσης του Scenesse σε εφήβους ηλικίας 12 έως 17 ετών με ερυθροποιητική πρωτοπορφυρία. Κατά τη διάρκεια της αξιολόγησης, η εταιρεία τροποποίησε την αίτησή της για την επέκταση της χρήσης του φαρμάκου σε εφήβους ηλικίας 15 έως 17 ετών με σωματικό βάρος άνω των 60 kg.

## **Πώς δρα το Scenesse;**

Οι ασθενείς με EPP έχουν υψηλά επίπεδα μιας ουσίας που ονομάζεται πρωτοπορφυρίνη IX. Όταν εκτίθεται στο φως, η πρωτοπορφυρίνη IX προκαλεί τις επώδυνες δερματικές αντιδράσεις που παρατηρούνται σε άτομα με αυτή την πάθηση.

Η δραστική ουσία του Scenesse, η αφαμελανοτιδίνη, διεγείρει την παραγωγή μιας καφέ-μαύρης χρωστικής ουσίας στο δέρμα, γνωστής ως ευμελανίνης, η οποία παράγεται κατά τη διάρκεια της έκθεσης στο ηλιακό φως, για την προστασία των κυττάρων του δέρματος από τις επιβλαβείς ακτίνες φωτός. Διεγείροντας την παραγωγή ευμελανίνης στο δέρμα, το Scenesse μειώνει την ποσότητα του φωτός που απορροφάται από το δέρμα, συμβάλλοντας κατ' αυτόν τον τρόπο στην πρόληψη ή τη μείωση αυτών των επώδυνων αντιδράσεων.

## **Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;**

Η εταιρεία παρουσίασε δεδομένα από μελέτη μητρώου που περιλάμβανε 7 εφήβους ηλικίας 15 έως 17 ετών με PPE, οι οποίοι έλαβαν θεραπεία με το σκεύασμα Scenesse για ενηλίκους (εμφυτεύματα που χορηγούνται με υποδόρια ένεση σε τακτά χρονικά διαστήματα). Τα στοιχεία βασίζονται σε αναφορές ασθενών σχετικά με τα μέτρα ηλιακής προστασίας που χρησιμοποίησαν και στις απαντήσεις των ασθενών σε ερωτηματολόγιο ποιότητας ζωής.

## **Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;**

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων είχε αξιολογήσει τις πληροφορίες που είχαν υποβληθεί από την εταιρεία και είχε καταρτίσει ερωτήσεις. Αφότου ο Οργανισμός ολοκλήρωσε την αξιολόγηση των απαντήσεων της εταιρείας στις ερωτήσεις, εκκρεμούσαν ακόμη ορισμένα ζητήματα.

## **Ποια ήταν η σύσταση του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης;**

Βάσει της εξέτασης των πληροφοριών και της απάντησης της εταιρείας στις ερωτήσεις του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός εξέφρασε ορισμένες ανησυχίες και διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το Scenesse δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί για τη θεραπεία εφήβων με EPP.

Ο Οργανισμός έκρινε ότι η εταιρεία δεν είχε παράσχει επαρκή και αξιόπιστα αποδεικτικά στοιχεία που να καταδεικνύουν την αποτελεσματικότητα και την ασφάλεια του Scenesse στους εφήβους ή για τον καθορισμό της καταλληλότερης δόσης που πρέπει να χρησιμοποιείται σε αυτήν την ηλικιακή ομάδα. Οι έφηβοι που συμπεριλήφθηκαν στη μελέτη έλαβαν το σκεύασμα Scenesse για ενηλίκους. Δεν παρέχονται δεδομένα σχετικά με τον τρόπο απορρόφησης, τροποποίησης και απομάκρυνσης του φαρμάκου από τον οργανισμό σε εφήβους, καθώς και σχετικά με την επίδραση του φαρμάκου στον οργανισμό σε αυτή την ομάδα ασθενών. Τα δεδομένα σχετικά με την ασφάλεια του Scenesse στους εφήβους ήταν επίσης πολύ περιορισμένα.

Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι δεν ήταν δυνατόν να τεκμηριωθεί η σχέση οφέλους/κινδύνου του Scenesse για τη θεραπεία εφήβων με ερυθροποιητική πρωτοπορφυρία.

### **Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;**

Στην [επιστολή](#) της με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση της αίτησης, η εταιρεία δήλωσε ότι απέσυρε την αίτησή της, διότι δεν ήταν δυνατόν να παράσχει τα πλήρη δεδομένα ασφάλειας και αποτελεσματικότητας που ζητήθηκαν από τον Οργανισμό.

### **Επηρεάζει η απόσυρση της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;**

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που μετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης με το Scenesse.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή ή πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας παρακολουθεί στο πλαίσιο της δοκιμής.

### **Τι ισχύει για το Scenesse για τη θεραπεία ενηλίκων με ερυθροποιητική πρωτοπορφυρία;**

Το Scenesse εξακολουθεί να είναι εγκεκριμένο για ενήλικες με EPP.