



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Otázky a odpovědi

Zamítnutí registrace přípravku Dropcys (merkaptamin-hydrochlorid)

Výsledek přezkumu

Dne 17. prosince 2015 Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) přijal záporné stanovisko ve věci registrace léčivého přípravku Dropcys určeného k prevenci a léčbě hromadění aminokyseliny cystinu v rohovce (průhledné vrstvě v přední části oka) a doporučil registraci tohoto přípravku zamítnout.

Žadatel požádal o přezkoumání stanoviska. Výbor CHMP poté, co posoudil důvody tohoto požadavku, opětovně přezkoumal své původní stanovisko a dne 1. dubna 2016 potvrdil zamítnutí registrace.

Co je Dropcys?

Dropcys je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku merkaptamin-hydrochlorid (známý rovněž jako cysteamin-hydrochlorid). Měl být k dispozici ve formě prášku a rozpouštědla pro přípravu roztoku na oční kapky.

Na co měl být přípravek Dropcys používán?

Přípravek Dropcys měl být používán k prevenci a léčbě cystinózy postihující rohovku. Cystinóza je vzácné dědičné onemocnění způsobené hromaděním látky zvané cystin, která vytváří krystalky uvnitř buněk, zejména v buňkách rohovky a ledvin.

Přípravek Dropcys byl označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění dne 15. října 2014. Přípravek měl být určen k léčbě cystinózy. Další informace o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění naleznete zde: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Léčivé přípravky obsahující merkaptamin-hydrochlorid jsou v EU registrovány k podávání ústy při léčbě cystinózy. Oftalmické (oční) lékové formy merkaptaminu se vyrábějí místně a používají se k léčbě očních příznaků.



Jak by měl přípravek Dropcys působit?

Hromadění krystalků cystinu uvnitř buněk rohovky může poškodit oči a vést k závažným zrakovým problémům. Léčivá látka v přípravku Dropcys, merkaptamin-hydrochlorid, měla s cystinem reagovat tak, že se cystin rozpustí a vzniknou látky, které lze z buněk odstranit. Když se tento léčivý přípravek aplikuje do oka, mělo by se množství cystinu v buňkách rohovky snížit, a tím omezit rozsah poškození oka.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Protože se merkaptamin používá k léčbě cystinózy mnoho let a jeho použití je dobře zavedené, předložil zadavatel na podporu své žádosti pro přípravek Dropcys údaje z lékařské literatury.

Jaké byly hlavní důvody, na jejichž základě výbor CHMP zamítl registraci?

Výbor CHMP usoudil, že studie z lékařské literatury předložené na podporu žádosti jsou nedostatečné. Ačkoli se úloha očních kapek s merkaptaminem při léčbě rohovkových depozit zdá být dostatečně podložená literaturou, stávajícími klinickými doporučeními a jeho rutinním používáním v nemocničních přípravcích, bylo předloženo málo údajů podporujících účinnost koncentrace merkaptaminu použité v přípravku Dropcys (0,1% roztok). Kromě toho měl výbor CHMP obavy ohledně dalších složek léčivého přípravku, jejich dopadu na dlouhodobou bezpečnost, zejména u dětí, a ohledně stability a sterility roztoku po jeho přípravě.

Výbor CHMP tudíž dospěl k názoru, že přínosy přípravku Dropcys nepřevyšují jeho rizika, a doporučil registraci zamítnout.

Během opětovného přezkoumání výbor CHMP znovu prostudoval údaje předložené společností. Výbor potvrdil své stanovisko, že účinnost přípravku Dropcys při léčbě rohovkových depozit nebyla dostatečně prokázána a že zůstaly nevyřešeny otázky týkající se lékové formy a dlouhodobé bezpečnosti a sterility přípravku. Výbor CHMP tedy znovu potvrdil své předchozí doporučení zamítnout registraci tohoto léčivého přípravku.

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

Společnost informovala výbor CHMP, že v současné době neprobíhají žádné klinické studie ani programy, v nichž je přípravek Dropcys podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.