



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1. April 2016  
**EMA/227275/2016**  
EMA/H/C/004038

## Fragen und Antworten

---

# Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen für Dropcys (Mercaptaminhydrochlorid)

## Ergebnis der erneuten Überprüfung

Am 17. Dezember 2015 gab der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) ein negatives Gutachten ab und empfahl die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen für das Arzneimittel Dropcys, das dafür vorgesehen ist, dem Aufbau der Aminosäure Cystin in der Hornhaut (der transparenten Schicht vor dem Augapfel) vorzubeugen sowie diesen zu behandeln. Das Unternehmen, das die Genehmigung in der EU beantragte, ist Lucane Pharma.

Der Antragsteller beantragte eine erneute Überprüfung des Gutachtens. Nach Abwägung der Gründe für diesen Antrag überprüfte der CHMP das ursprüngliche Gutachten erneut und bestätigte am 1. April 2016 die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen.

## Was ist Dropcys?

Dropcys ist ein Arzneimittel, das den Wirkstoff Mercaptaminhydrochlorid (auch als Cysteaminhydrochlorid bekannt) enthält. Es sollte als Pulver und Lösungsmittel erhältlich sein, um eine Lösung für Augentropfen anzufertigen.

## Wofür sollte Dropcys angewendet werden?

Dropcys sollte für die Vorbeugung und Behandlung von Cystinose in der Hornhaut angewendet werden. Cystinose ist eine seltene Erbkrankheit, die durch die Ansammlung eines Stoffs verursacht wird, der Cystin genannt wird und der Kristalle innerhalb der Zellen, und zwar insbesondere der Zellen der Hornhaut und der Nieren, bildet.

Dropcys wurde am 15. Oktober 2014 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) zur Behandlung von Cystinose ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).



Arzneimittel, die Mercaptaminhydrochlorid enthalten, sind in der EU für eine orale Anwendung zur Behandlung von Cystinose zugelassen. Ophthalmische (für die Augen vorgesehene) Formulierungen mit Mercaptamin werden lokal hergestellt und für die Behandlung von Augensymptomen angewendet.

### **Wie sollte Dropcys wirken?**

Der Aufbau von Cystinkristallen in den Zellen der Hornhaut kann die Augen schädigen und schwere Sehstörungen verursachen. Der Wirkstoff in Dropcys, Mercaptaminhydrochlorid, sollte mit dem Cystin reagieren, um es aufzulösen und Stoffe zu bilden, die aus den Zellen entfernt werden können. Durch die Anwendung des Arzneimittels im Auge sollte der Cystingehalt in den Hornhautzellen reduziert und somit das Ausmaß der Augenschädigung begrenzt werden.

### **Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?**

Da Mercaptamin bereits seit vielen Jahren zur Behandlung von Cystinose eingesetzt und allgemein medizinisch verwendet wird, legte der Antragsteller Daten aus der medizinischen Literatur vor, um den Antrag für Dropcys zu unterstützen.

### **Was waren die wesentlichen Bedenken, die den CHMP dazu veranlasst haben, die Genehmigung für das Inverkehrbringen zu versagen?**

Der CHMP war der Ansicht, dass die Studien aus der medizinischen Literatur, die zur Unterstützung des Antrags vorlegt wurden, unzureichend waren. Obwohl die Rolle von Mercaptamin-Augentropfen zur Behandlung von Hornhautablagerungen durch die Literatur, die gegenwärtigen klinischen Empfehlungen und ihre routinemäßige Anwendung in Krankenhauszubereitungen hinreichend belegt zu sein scheint, unterstützten nur wenige Daten die Wirksamkeit der in Dropcys verwendeten Mercaptaminkonzentration (0,1 %-Lösung). Zudem hatte der CHMP Bedenken im Hinblick auf andere Inhaltsstoffe des Arzneimittels und auf deren Auswirkung auf die langfristige Sicherheit, insbesondere bei Kindern, sowie darauf, wie stabil und steril die Lösung nach der Zubereitung sein würde.

Der CHMP war daher der Ansicht, dass der Nutzen von Dropcys gegenüber den Risiken nicht überwiegt, und empfahl die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen.

Im Rahmen der erneuten Überprüfung untersuchte der CHMP erneut die vom Unternehmen bereitgestellten Daten. Der Ausschuss bestätigte das Gutachten, dass die Wirksamkeit von Dropcys bei der Behandlung von Hornhautablagerungen nicht hinreichend nachgewiesen wurde und dass ungelöste Fragen bezüglich der Formulierung und langfristigen Sicherheit und Sterilität des Arzneimittels bestehen. Daher bestätigte der CHMP seine zuvor erteilte Empfehlung, die Genehmigung für das Inverkehrbringen des Arzneimittels zu versagen.

### **Welche Konsequenzen hat diese Versagung für Patienten, die derzeit an klinischen Studien bzw. „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen?**

Das Unternehmen setzte den CHMP davon in Kenntnis, dass derzeit keine klinischen Studien oder „Compassionate-Use“-Programme mit Dropcys durchgeführt werden.