



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1 aprilie 2016
EMA/227275/2016
EMA/H/C/004038

Întrebări și răspunsuri

Refuzul autorizației de introducere pe piață pentru Dropcys (clorhidrat de mercaptamină)

Rezultatul reexaminării

La 17 decembrie 2015, Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) a adoptat un aviz negativ, recomandând refuzul autorizației de introducere pe piață pentru medicamentul Dropcys, destinat prevenirii și tratării acumulării aminoacidului numit cistină în cornee (stratul transparent aflat în partea din față a ochiului). Compania care a solicitat autorizația la nivelul UE este Lucane Pharma.

Solicitantul a cerut reexaminarea avizului. După analizarea motivelor acestei cereri, CHMP a reexaminat avizul inițial și a confirmat refuzul autorizației de introducere pe piață la 1 aprilie 2016.

Ce este Dropcys?

Dropcys este un medicament care conține substanța activă clorhidrat de mercaptamină (cunoscută și sub numele de clorhidrat de cisteamină). Medicamentul urma să fie disponibil sub formă de pulbere și solvent din care se obține o soluție pentru picături oftalmice.

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Dropcys?

Dropcys ar fi trebuit să se utilizeze pentru prevenirea și tratarea cistinozei care afectează corneea. Cistinoza este o boală ereditară rară, cauzată de acumularea unei substanțe numite cistină, care formează cristale în interiorul celulelor, în special în celulele din cornee și rinichi.

Dropcys a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) pentru tratamentul cistinozei la 15 octombrie 2014. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile aici: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Medicamentele care conțin clorhidrat de mercaptamină sunt autorizate la nivelul UE pentru administrarea pe cale orală în tratamentul cistinozei. Formulările oftalmice (pentru ochi) care conțin mercaptamină sunt preparate la nivel local și sunt utilizate pentru tratamentul simptomelor oculare.



Cum ar trebui să acționeze Dropcys?

Acumularea cristalelor de cistină în interiorul celulelor corneene poate leza ochii și cauza tulburări de vedere grave. Substanța activă din Dropcys, clorhidratul de mercaptamină, trebuia să intre în reacție cu cistina pentru a o dizolva și pentru a forma substanțe care să poată fi eliminate din celule. La aplicarea medicamentului la nivelul ochiului, se preconiza o scădere a cantității de cistină din celulele corneei, limitând gradul de lezare a ochiului.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Deoarece mercaptamina este utilizată de mai mulți ani în tratamentul cistinozei, iar modul de utilizare al acesteia este bine stabilit, solicitantul a prezentat date din literatura medicală de specialitate în sprijinul cererii sale pentru Dropcys.

Care au fost principalele motive de îngrijorare ale CHMP care au condus la refuz?

CHMP a considerat că studiile preluate din literatura medicală de specialitate care au fost prezentate în sprijinul cererii au fost insuficiente. Deși rolul picăturilor oftalmice cu mercaptamină în tratamentul depunerilor corneene pare să fie susținut suficient de literatura de specialitate, de recomandările clinice actuale și de utilizarea de rutină în preparatele obținute în spital, există puține date care să susțină eficacitatea concentrației de mercaptamină utilizată în Dropcys (soluție de 0,1 %). În plus, CHMP avea motive de îngrijorare privind alte componente ale medicamentului, impactul acestora asupra siguranței pe termen lung, în special la copii și adolescenți, precum și cu privire la stabilitatea și sterilitatea soluției odată pregătită.

Prin urmare, CHMP a considerat că beneficiile Dropcys nu sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat refuzul autorizației de introducere pe piață pentru acest medicament.

În cursul reexaminării, CHMP a analizat din nou datele furnizate de companie. Comitetul a confirmat opinia conform căreia eficacitatea Dropcys în tratamentul depunerilor corneene nu a fost demonstrată suficient și că au mai rămas probleme nerezolvate privind formularea, precum și privind siguranța pe termen lung și sterilitatea medicamentului. Prin urmare, CHMP și-a menținut recomandarea anterioară de refuz al autorizației de introducere pe piață pentru acest medicament.

Care sunt consecințele acestui refuz pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional?

Compania a informat CHMP că nu sunt în derulare studii clinice sau programe de uz compasional cu Dropcys.