



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Otázky a odpovede

---

# Zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Dropcys (merkaptamín-hydrochlorid)

## Výsledok opätovného preskúmania

Dňa 17. decembra 2015 prijal Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) negatívne stanovisko, ktorým sa odporúča zamietnuť povolenie na uvedenie na trh pre liek Dropcys, ktorý sa mal používať na prevenciu a liečbu ukladania aminokyseliny cystínu v rohovke (transparentnej vrstve v prednej časti oka). Spoločnosť, ktorá požiadala o povolenie v EÚ, je Lucane Pharma.

Žiadateľ požiadala o opätovné preskúmanie stanoviska. Po zvážení zdôvodnenia tejto žiadosti výbor CHMP opätovne preskúmal pôvodné stanovisko a 1. apríla 2016 potvrdil zamietnutie povolenia na uvedenie lieku na trh.

## Čo je liek Dropcys?

Dropcys je liek, ktorý obsahuje účinnú látku merkaptamín-hydrochlorid (známy aj ako cysteamín-hydrochlorid). Liek mal byť dostupný vo forme prášku a rozpúšťadla na vytvorenie roztoku pre očné instilácie.

## Aké bolo predpokladané použitie lieku Dropcys?

Liek Dropcys sa mal používať na prevenciu a liečbu cystinózy postihujúcej rohovku. Cystinóza je zriedkavé dedičné ochorenie zapríčinené ukladaním látky nazývanej cystín, ktorá vytvára kryštály v bunkách, najmä v bunkách rohovky a obličiek.

Liek Dropcys bol 15. októbra 2014 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu cystinózy. Viac informácií o označovaní liekov za lieky na zriedkavé choroby sa nachádza tu: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Lieky obsahujúce merkaptamín-hydrochlorid sú v EÚ povolené na ústne užívanie pri liečbe cystinózy. Oftalmické (očné) formy merkaptamínu sa aplikujú lokálne a používajú sa na liečbu očných príznakov.



## **Akým spôsobom by mal liek Dropcys účinkovať?**

Ukladanie cystínových kryštálov v bunkách rohovky môže poškodiť oči a spôsobiť závažné problémy so zrakom. Účinná látka lieku Dropcys, merkaptamín-hydrochlorid, by mala reagovať s cystínom a rozpustiť ho, pričom by sa vytvorili látky, ktoré by mohli byť z buniek odstránené. Keď sa liek aplikuje do oka, množstvo cystínu v bunkách rohovky by sa malo znížiť, čím by sa obmedzil rozsah poškodenia oka.

## **Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?**

Keďže merkaptamín sa používa mnoho rokov na liečbu cystinózy a jeho používanie je dobre zavedené, žiadateľ predložil na podporu svojej žiadosti pre liek Dropcys údaje z lekárskej literatúry.

## **Aké hlavné výhrady viedli výbor CHMP k odporúčaniam zamietnuť povolenie na uvedenie na trh?**

Výbor CHMP usúdil, že štúdie z lekárskej literatúry predložené na podporu žiadosti nie sú dostatočné. Aj keď sa zdá, že úloha merkaptamínovej očnej instilácie pri liečbe depozitov v rohovke je dostatočne podporená literatúrou, súčasnými klinickými odporúčaniami a jeho bežným používaním v nemocniciach, k dispozícii bolo málo údajov podporujúcich účinnosť koncentrácie merkaptamínu použitej v lieku Dropcys (0,1 % roztok). Výbor CHMP mal okrem toho výhrady týkajúce sa ďalších zložiek lieku, ich vplyvu na dlhodobú bezpečnosť, najmä u detí, ako aj stability a sterility roztoku po príprave.

Výbor CHMP bol preto toho názoru, že prínosy lieku Dropcys neprevyšujú jeho riziká, a odporučil zamietnuť povolenie na uvedenie lieku na trh.

Výbor CHMP počas opätovného preskúmania stanoviska znova preskúmal údaje od spoločnosti. Výbor potvrdil stanovisko, že účinnosť lieku Dropcys pri liečbe depozitov v rohovke nebola dostatočne preukázaná a že otázky týkajúce sa formy a dlhobehovej bezpečnosti a sterility lieku neboli vyriešené. Výbor CHMP teda znova potvrdil svoje predchádzajúce odporúčanie, aby sa povolenie na uvedenie lieku na trh zamietlo.

## **Aké sú dôsledky zamietnutia pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach lieku alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?**

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že neprebiehajú žiadne klinické skúšania ani programy na použitie lieku Dropcys v naliehavých prípadoch.