



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1 april 2016  
**EMA/227275/2016**  
EMA/H/C/004038

## Frågor och svar

---

# Avslag på ansökan om godkännande för försäljning av Dropcys (merkaptaminhydroklorid)

## Resultat av förnyad prövning

Den 17 december 2015 antog kommittén för humanläkemedel (CHMP) ett negativt ställningstagande, där man rekommenderade avslag på ansökan om godkännande för försäljning för läkemedlet Dropcys, avsett för att förebygga och behandla ansamlingen av aminosyran cystin i hornhinnan (den genomskinliga hinnan längst fram på ögat). Företaget som ansökte om godkännande i EU är Lucane Pharma.

Den sökande begärde förnyad prövning av ställningstagandet. Efter att ha beaktat grunderna för begäran omprövade kommittén för humanläkemedel det ursprungliga ställningstagandet och den 1 april 2016 bekräftade kommittén avslaget på godkännande för försäljning.

## Vad är Dropcys?

Dropcys är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen merkaptaminhydroklorid (även kallat cysteaminhydroklorid). Det skulle finnas tillgängligt som ett pulver och en vätska, för att framställa en lösning för ögondroppar.

## Vad skulle Dropcys användas för?

Dropcys skulle användas för att förebygga och behandla cystinos i hornhinnan. Cystinos är en sällsynt ärftlig sjukdom som orsakas av ansamling av en substans som kallas cystin, som bildar kristaller inne i celler, särskilt celler i hornhinnan och njurarna.

Den 15 oktober 2014 klassificerades Dropcys som säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) för behandling av cystinos. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns här: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).



Läkemedel som innehåller merkaptaminhydroklorid är godkända i EU för användning via munnen vid behandling av cystinos. Oftalmiska (ögon) beredningar av merkaptamin framställs lokalt och används för att behandla ögonsymtom.

### **Hur var det tänkt att Dropcys skulle verka?**

Ansamlingen av cystinkristaller inne i hornhinnecellerna kan skada ögonen och orsaka allvarliga synproblem. Den aktiva substansen i Dropcys, merkaptaminhydroklorid, skulle reagera med cystin för att lösa upp det och bilda substanser som skulle kunna avlägsnas från cellerna. När läkemedlet appliceras i ögat förväntades det att mängden cystin i cellerna i hornhinnan skulle minska och därmed begränsa skadorna på ögonen.

### **Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?**

Eftersom merkaptamin har använts i många år för att behandla cystinos och dess användning är väletablerad, presenterade den sökande uppgifter från den medicinska litteraturen som stöd för sin ansökan för Dropcys.

### **Vad var det som främst fick kommittén för humanläkemedel att rekommendera avslag av ansökan?**

Kommittén för humanläkemedel ansåg att studierna från den medicinska litteraturen som presenterades som stöd för ansökan var otillräckliga. Även om rollen för merkaptaminögonddroppar i behandlingen av hornhinneavlagringar verkar ha tillräckligt stöd i litteraturen, nuvarande kliniska rekommendationer och dess rutinmässiga användning i sjukhuspreparat fanns det få data till stöd för effektiviteten för den merkaptaminkoncentration som används i Dropcys (0,1 procent lösning). Dessutom hyste kommittén för humanläkemedel farhågor angående andra innehållsämnen i läkemedlet, deras inverkan på den långsiktiga säkerheten, särskilt hos barn, och hur stabil och steril lösningen skulle vara när den väl var beredd.

Därför fann kommittén för humanläkemedel att nyttan med Dropcys inte är större än riskerna och rekommenderade att ansökan om godkännande för försäljning skulle avslås.

Under omprövningen granskade kommittén för humanläkemedel åter uppgifterna från företaget. Kommittén bekräftade ställningstagandet att effektiviteten för Dropcys vid behandlingen av hornhinneavlagringar inte hade påvisats tillräckligt och att det fanns olösta problem med läkemedlets beredning, långsiktiga säkerhet och sterilitet. Kommittén för humanläkemedel bekräftade alltså sin tidigare rekommendation att ansökan om godkännande för försäljning av läkemedlet skulle avslås.

### **Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?**

Företaget har informerat kommittén för humanläkemedel om att inga kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program pågår med Dropcys.