



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1 de abril de 2016  
**EMA/227275/2016**  
EMEA/H/C/004038

## Preguntas y respuestas

---

# Denegación de la autorización de comercialización de Dropcys (hidrocloruro de mercaptamina)

## Resultado de la revisión

El 17 de diciembre de 2015 el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) emitió un dictamen negativo, en el que se recomendaba la denegación de la autorización de comercialización del medicamento Dropcys, destinado a prevenir y tratar la acumulación del aminoácido cistina en la córnea (la capa transparente en la parte frontal del ojo). La compañía que solicitó la autorización de comercialización en la UE es Lucane Pharma.

El solicitante pidió la revisión del dictamen. Tras considerar el fundamento de esta solicitud, el CHMP revisó el dictamen inicial y confirmó la denegación de la autorización de comercialización el 1 de abril de 2016.

### ¿Qué es Dropcys?

Dropcys es un medicamento que contiene el principio activo hidrocloruro de mercaptamina (también conocido como hidrocloruro de cisteamina). Iba a estar disponible en forma de polvo y disolvente, para reconstituir una solución para colirio.

### ¿A qué uso estaba destinado Dropcys?

Dropcys estaba destinado a prevenir y tratar la cistinosis que afecta a la córnea. La cistinosis es una enfermedad hereditaria rara, causada por la acumulación de una sustancia denominada cistina que forma cristales dentro de las células, especialmente en las células de la córnea y de los riñones.

Dropcys fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 15 de octubre de 2014 para el tratamiento de la cistinosis. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en el siguiente enlace:

[ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).



Los medicamentos que contienen hidrocloreuro de mercaptamina están autorizados en la UE para su uso oral en el tratamiento de la cistinosis. Las formulaciones oftálmicas (oculares) de mercaptamina se reconstituyen en el mismo lugar y se usan para el manejo de síntomas oculares.

### **¿Cómo estaba previsto que actuase Dropcys?**

La acumulación de cristales de cistina dentro de las células de la córnea puede dañar los ojos y provocar graves problemas de visión. Estaba previsto que el principio activo de Dropcys, hidrocloreuro de mercaptamina, reaccionase con la cistina para disolverla y formar sustancias que se pudiesen eliminar de las células. Se esperaba que al aplicar el medicamento al ojo, la cantidad de cistina en las células de la córnea se redujese, limitando el daño ocular.

### **¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?**

Puesto que mercaptamina se ha utilizado durante muchos años para tratar la cistinosis y su uso está consolidado, el solicitante presentó datos de la bibliografía médica para respaldar su solicitud para Dropcys.

### **¿Cuáles fueron los principales problemas que llevaron al CHMP a recomendar que se denegara la autorización de comercialización?**

El CHMP consideró que los estudios de la bibliografía médica presentados para respaldar la solicitud eran insuficientes. Aunque el papel de los colirios de mercaptamina en el tratamiento de los depósitos corneales parece estar suficientemente respaldado por la bibliografía, por las recomendaciones clínicas actuales y por el uso rutinario en preparaciones hospitalarias, había pocos datos que respaldasen la eficacia de la concentración de mercaptamina que se usa en Dropcys (solución al 0,1 %). Además, al CHMP le preocupaban otros ingredientes del medicamento, su impacto sobre la seguridad a largo plazo, especialmente en niños, y hasta qué punto sería estable y estéril la solución una vez preparada.

Por lo tanto, el CHMP consideró que los beneficios de Dropcys no eran mayores que los riesgos y recomendó rechazar su autorización de comercialización.

Durante la revisión, el CHMP consideró de nuevo los datos de la compañía. El Comité confirmó el dictamen, en el sentido de que la eficacia de Dropcys en el tratamiento de los depósitos corneales no se había demostrado suficientemente y había cuestiones no resueltas con respecto a la formulación y a la seguridad y estabilidad a largo plazo del medicamento. Por lo tanto, el CHMP ratificó su recomendación anterior de que se denegase la autorización de comercialización del medicamento.

### **¿Qué consecuencias tiene esta denegación para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?**

La empresa informó al CHMP de que no hay en estos momentos ningún ensayo clínico en curso ni programas de uso compasivo con Dropcys.