



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31. mai 2024
EMA/243052/2024
EMA/H/C/002548/II/0044

Müügiloa muutmise taotluse tagasivõtmise teave: Scenesse (afamelanotiid)

Clinuvel Europe Limited võttis tagasi Scenesse müügiloa muutmise taotluse, millega kavatseti laiendada ravimi kasutamist noorukitele, kellel on haruldane harvikaigus erütropoeetiline protoporfüüria (EPP), mis põhjustab valgustalumatust.

Ettevõtte võttis taotluse tagasi 24. aprillil 2024.

Mis on Scenesse ja milleks seda kasutatakse?

Scenesse on ravim, mida kasutatakse erütropoeetilise protoporfüüriaga täiskasvanute raviks. Erütropoeetilise protoporfüüriaga patsientidel võib kokkupuude valgusega tekitada selliseid sümptomeid nagu naha valulikkus ja turse, mistõttu patsiendid ei saa viibida õues ega ereda valgusega kohtades. Scenesset kasutatakse nende sümptomite ennetamiseks või vähendamiseks, et patsientide elu oleks normaalsem.

Scenessel on ELis müügiluba alates detsembrist 2014.

Scenesse toimeaine on afamelanotiid. Ravimit turustatakse implantaatidena, mis sisestatakse patsiendi naha alla iga 2 kuu järel rohkema päikesevalgusega perioodide eel ja ajal, näiteks kevadest varasügiseni. Soovitav implantaatide arv aastas sõltub sellest, kui palju kaitset päikese eest on vaja. Soovitav arv on 3 implantaati aastas ja suurim 4 implantaati aastas.

Scenesse nimetati 8. mail 2008 erütropoeetilise protoporfüüria harvkravimiks. Lisateave harvkravimiks nimetamise kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

Lisateave Scenesse kasutamise kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse

Mis muudatust ettevõtte taotles?

Ettevõtte esitas taotluse laiendada Scenesse näidustust 12–17-aastastele erütropoeetilise protoporfüüriaga noorukitele. Hindamise ajal muutis ettevõtte taotluses patsiendirühma 15–17-aastasteks noorukiteks kehamassiga üle 60 kg.



Kuidas Scenesse toimib?

Erütropoeetilise protoporfüüriaga patsientide organismis on palju ainet nimetusega protoporfüriin IX. Valgusega kokkupuutel põhjustab protoporfüriin IX selle seisundiga inimestel valulikke nahareaktsioone.

Scenesse toimeaine afamelanotiid stimuleerib nahas pruunikasmusta pigmendi (eumelaniini) tootmist, mis tekib päikesevalgusega kokkupuutel, et kaitsta naharakke kahjuliku valguskiirguse eest. Stimuleerides eumelaniini tootmist nahas, vähendab Scenesse nahas neelduva valguse hulka, aidates seega neid valulikke reaktsioone ennetada või vähendada.

Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas andmed registriuuringust, milles osales 7 erütropoeetilise protoporfüüriaga 15–17-aastast noorukit, keda raviti Scenesse täiskasvanute ravimvormiga (implantaadid, mida süstitakse naha alla korrapäraste ajavahemike järel). Andmed põhinevad patsientide teadetest kasutatud päikesekaitsemeetmete kohta ja patsientide vastustel elukvaliteedi küsimustikule.

Mis järgus oli müügiloo taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Taotlus võeti tagasi pärast seda, kui Euroopa Ravimiamet oli hinnanud ettevõtte esitatud teavet ja koostanud küsimused. Amet oli ettevõttele esitatud küsimuste vastused läbi vaadanud, kuid mõni probleem oli veel lahendamata.

Mis oli sel ajal Euroopa Ravimiameti soovitus?

Tuginedes esitatud andmete analüüsile ja ettevõtte vastustele ameti esitatud küsimustele, nägi amet taotluse tagasivõtmise ajal põhjust ettevaatlikkuseks ja oli esialgsel seisukohal, et Scenesse kasutamist erütropoeetilise protoporfüüriaga noorukite raviks ei ole võimalik heaks kiita.

Amet leidis, et ettevõtte ei ole esitanud piisavaid ja usaldusväärseid tõendeid Scenesse efektiivsuse ja ohutuse määramiseks noorukitel ega sellele vanuserühmale sobivaima annuse määratlemiseks. Uuringus osalenud noorukid said Scenesse täiskasvanute ravimvormi. Puudusid andmed ravimi imendumise, muundumise ja organismist eritumise kohta noorukitel ning toime kohta organismis selles patsiendirühmas. Ka andmed Scenesse ohutuse kohta noorukitel olid väga piiratud.

Seetõttu oli amet arvamusel, et Scenesse kasulikkuse ja riskide tasakaalu erütropoeetilise protoporfüüriaga noorukite ravis ei ole võimalik kindlaks teha.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Ettevõtte [kirjas](#), milles ta teatab ametile oma taotluse tagasivõtmisest, märgib ettevõtte, et võttis taotluse tagasi, sest tal ei ole võimalik esitada ameti eeldatud põhjalikke ohutus- ja efektiivsusandmeid.

Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas ametile, et tagasivõtmine ei mõjuta Scenesse kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus või eriloaga kasutamise programmis ja vajate ravi kohta lisateavet, pöörduge kliinilise uuringu arsti poole.

Kuidas mõjutab taotluse tagasivõtmine Scenesse kasutamist erütropoeetilise protoporfüüriaga täiskasvanute raviks?

Scenesse on endiselt heaks kiidetud erütropoeetilise protoporfüüriaga täiskasvanute raviks.