



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Scenessen (afamelanotidi) myyntiluvan muuttamista koskevan hakemuksen peruuttaminen

Clinuvel Europe Limited peruutti hakemuksensa, joka koski Scenessen myyntiluvan muutosta. Muutoksenhaun tarkoituksena oli Scenessen käyttöaiheen laajentaminen nuoriin, joilla on erytropoieettinen protoporfyria (EPP), joka on valoyliherkkyyttä aiheuttava harvinainen sairaus.

Yhtiö peruutti hakemuksen 24. huhtikuuta 2024.

Mitä Scenesse on ja mihin sitä käytetään?

Scenesse on lääke, jolla hoidetaan EPP:tä sairastavia aikuisia. EPP-potilailla valolle altistuminen voi aiheuttaa oireita, kuten kipua ja ihon turvotusta, mikä estää heitä viettämästä aikaa ulkona tai kirkkaissa paikoissa. Scenesse-valmistetta käytetään ehkäisemään tai vähentämään näitä oireita, jotta potilaat voivat elää normaalimpaa elämää.

Scenesse hyväksyttiin EU:ssa joulukuussa 2014.

Scenessen vaikuttava aine on afamelanotidi. Lääkevalmistetta saa implantaatteina, jotka injektoidaan potilaan ihon alle kahden kuukauden välein ennen auringonvalolle altistavia ajanjaksoja ja niiden aikana, esimerkiksi kevästä syksyyn. Implantaattien lukumäärä vuodessa määräytyy sen mukaan, kuinka paljon suojaa auringolta tarvitaan. Suositus on kolmea implantaattia vuodessa; enimmäismäärä on neljä.

Scenesse nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 8. toukokuuta 2008 PPE:n hoitoon. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

Lisätietoja Scenessen käytöstä on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse

Mitä muutosta yhtiö haki?

Yhtiö haki Scenessen käytön laajentamista EPP:tä sairastaviin 12–17-vuotiaisiin nuoriin. Arvioinnin aikana yhtiö muutti hakemustaan koskemaan 15–17-vuotiaita yli 60 kg painavia nuoria.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Miten Scenesse vaikuttaa?

EPP-potilailla on suuria määriä protoporfyrini IX-nimistä ainetta. Altistuessaan valolle protoporfyrini IX aiheuttaa EPP:tä sairastaville kivuliaita ihoreaktioita.

Scenessen vaikuttava aine afamelanotidi stimuloi ihon ruskeanmustan pigmentin (eumelaniinin) tuotantoa. Sitä muodostuu, kun iho altistuu auringonvalolle. Tämä suojaa ihon soluja haitallisilta valonlähteiltä. Scenesse stimuloi eumelaniinin tuotantoa iholla ja vähentää ihon läpi tunkeutuvan valon määrää, mikä auttaa ehkäisemään tai vähentämään näitä kivuliaita reaktioita.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tietoja rekisteritutkimuksesta, johon osallistui seitsemän iältään 15–17-vuotiaista EPP:tä sairastavaa nuorta, joita hoidettiin Scenessen lääkemuodolla, jota annetaan aikuisille (implantaatit, jotka injektoidaan ihon alle säännöllisin väliajoin). Tiedot perustuvat potilaiden ilmoituksiin toimista, joilla he suojautuivat auringolta, ja potilaiden vastauksiin elämänlaatua koskevassa kyselyssä.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut yhtiön toimittamat tiedot ja laatinut luettelon kysymyksistä. Kun virasto oli arvioinut yhtiön kysymyksiin antamat vastaukset, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

Mikä oli viraston suositus tuolloin?

Virasto suhtautui saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Scenessä ei olisi voitu hyväksyä nuorten EPP-potilaiden hoitoon.

Virasto katsoi, ettei yhtiö ollut toimittanut riittävästi luotettavaa näyttöä, jotta voitaisiin määrittää Scenessen teho ja turvallisuus nuorilla tai määrittää sopivin annos tässä ikäryhmässä. Tutkimukseen osallistuneet nuoret saivat samaa Scenessen lääkemuotoa, jota annetaan aikuisille. Ei ole tietoja siitä, miten lääke imeytyy, muuntuu ja poistuu elimistöstä nuorilla eikä sen vaikutuksista elimistössä tässä potilasryhmässä. Myös tiedot Scenessen turvallisuudesta nuorilla olivat hyvin vähäisiä.

Siksi virasto katsoi, että Scenessen riski-hyötysuhdetta EPP:tä sairastavien nuorten hoidossa ei voitu määrittää.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa peruuttaneensa hakemuksensa, koska se ei voinut toimittaa viraston odottamia kattavia turvallisuutta ja tehoa koskevia tietoja.

Vaikuttaako tämä hakemuksen peruuttaminen klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Scenessä koskeviin klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin.

Jos olet mukana klinisessä tutkimuksessa tai erityiskäyttöohjelmassa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä klinisen tutkimuksen lääkäriin.

Mitä tapahtuu Scenesse-valmisteen käytölle PPE:tä sairastavien aikuisten hoidossa?

Scenessellä on edelleen myyntilupa EPP:tä sairastavien aikuisten hoitoon.