



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Retrait de la demande de modification de l'autorisation de mise sur le marché pour Scenesse (afamélanotide)

Clinuvel Europe Limited a retiré sa demande de modification de l'autorisation de mise sur le marché pour Scenesse, qui visait à étendre l'utilisation du médicament aux adolescents atteints de protoporphyrie érythropoïétique (PPE), une maladie rare qui provoque une intolérance à la lumière.

La société a retiré sa demande le 24 avril 2024.

Qu'est-ce que Scenesse et dans quel cas est-il utilisé?

Scenesse est un médicament utilisé dans le traitement des adultes atteints de PPE. Chez les patients atteints de PPE, l'exposition à la lumière peut entraîner des symptômes tels que des douleurs et un gonflement de la peau, ce qui les empêche de pouvoir passer du temps à l'extérieur ou dans des endroits où la lumière est vive. Scenesse est utilisé pour contribuer à prévenir ou à réduire ces symptômes, afin que ces patients puissent mener des vies plus normales.

Scenesse est autorisé dans l'UE depuis décembre 2014.

Scenesse contient la substance active afamélanotide. Le médicament est disponible sous la forme d'implants injectés sous la peau du patient une fois tous les deux mois, avant et pendant des périodes d'exposition élevée au soleil, par exemple du printemps à l'automne. Le nombre d'implants administrés par an dépend du niveau de protection nécessaire contre le soleil. Trois implants par an sont recommandés, le nombre maximal étant de quatre par an.

Scenesse a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares), le 8 mai 2008 pour le PPE. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

Des informations sur les utilisations de Scenesse sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:

ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse



Quelle modification la société avait-elle demandée?

La société a demandé d'étendre l'utilisation de Scenesse aux adolescents âgés de 12 à 17 ans atteints de PPE. Au cours de l'évaluation, la société a modifié la demande afin que celle-ci porte sur les adolescents âgés de 15 à 17 ans et pesant plus de 60 kg.

Comment Scenesse agit-il?

Les patients atteints de PPE présentent des taux élevés d'une substance appelée protoporphyrine IX. Lorsqu'elle est exposée à la lumière, la protoporphyrine IX provoque les réactions cutanées douloureuses observées chez les personnes atteintes de cette maladie.

La substance active de Scenesse, l'afamélanotide, stimule la production dans la peau d'un pigment brun-noir, connu sous le nom d'eumélanine, qui est produit pendant l'exposition à la lumière du soleil afin de protéger les cellules de la peau des rayons lumineux nocifs. En stimulant la production d'eumélanine dans la peau, Scenesse réduit la quantité de lumière absorbée par la peau, contribuant ainsi à prévenir ou à réduire les réactions douloureuses chez les patients concernés.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

La société a présenté des données provenant d'une étude de registre incluant sept adolescents âgés de 15 à 17 ans atteints de PPE, qui ont été traités avec la formulation adulte de Scenesse (implants injectés sous la peau à intervalles réguliers). Les données sont basées sur des rapports de patients concernant les mesures de protection solaire qu'ils ont mis en œuvre et sur les réponses de ces patients à un questionnaire sur la qualité de vie.

À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?

La demande a été retirée après que l'Agence européenne des médicaments a évalué les informations fournies par la société et préparé des questions. Après l'évaluation par l'Agence des réponses apportées par la société aux questions, certains aspects problématiques demeuraient en suspens.

Quelle était la recommandation de l'Agence à ce stade?

Sur la base de l'examen des données et de la réponse de la société aux questions de l'Agence, au moment du retrait, l'Agence avait des réserves et estimait à ce stade que Scenesse n'aurait pas pu être autorisé pour le traitement des adolescents atteints de PPE.

L'Agence a estimé que la société n'avait pas fourni de preuves suffisantes et solides pour déterminer l'efficacité et la sécurité de Scenesse chez les adolescents, ni pour définir la dose la plus appropriée à utiliser dans ce groupe d'âge. Les adolescents inclus dans l'étude ont reçu la formulation adulte de Scenesse. Aucune donnée n'a été fournie sur la manière dont le médicament est absorbé, modifié et éliminé du corps chez les adolescents et sur ses effets dans le corps chez ce groupe de patients. Les données sur la sécurité de Scenesse chez les adolescents étaient également très limitées.

Par conséquent, l'Agence était d'avis qu'il n'était pas possible d'établir un rapport bénéfices/risques pour Scenesse dans le traitement des adolescents atteints de PPE.

Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?

Dans sa [lettre](#) notifiant à l'Agence le retrait de la demande, la société a indiqué qu'elle avait retiré sa demande, étant donné qu'il n'était pas possible de fournir les données complètes sur la sécurité et l'efficacité attendues par l'Agence.

Quelles sont les conséquences du retrait pour les patients participant aux essais cliniques ou bénéficiant de programmes d'utilisation compassionnelle?

La société a informé l'Agence qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients inclus dans des essais cliniques ou des programmes d'utilisation compassionnelle utilisant Scenesse.

Si vous participez à un essai clinique ou à un programme d'utilisation compassionnelle et si vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui dirige l'essai clinique.

Qu'en est-il de l'utilisation de Scenesse pour le traitement des adultes atteints de PPE?

L'utilisation de Scenesse continue d'être autorisée chez les adultes atteints de PPE.