

1^{er} avril 2016
EMA/227275/2016
EMA/H/C/004038

Questions et réponses

Refus de l'autorisation de mise sur le marché pour Dropcys (chlorhydrate de mercaptamine)

Résultats de la procédure de réexamen

Le 17 décembre 2015, le comité des médicaments à usage humain (CHMP) a émis un avis négatif, recommandant le refus de l'autorisation de mise sur le marché pour le médicament Dropcys, destiné à prévenir et traiter l'accumulation d'un acide aminé, la cystéine, dans la cornée (la couche transparente recouvrant l'œil). La société ayant fait la demande d'autorisation dans l'UE est Lucane Pharma.

Le demandeur a sollicité un réexamen de l'avis. Après avoir passé en revue les motifs de cette requête, le CHMP a réexaminé son avis initial et confirmé la recommandation de refus de l'octroi d'autorisation de mise sur le marché, le 1^{er} avril 2016.

Qu'est-ce que Dropcys?

Dropcys est un médicament qui contient le principe actif chlorhydrate de mercaptamine (aussi connu sous le nom de chlorhydrate de cystéamine). Dropcys devait se présenter sous forme de poudre et de solvant à reconstituer pour obtenir un collyre.

Dans quel cas Dropcys devait-il être utilisé?

Dropcys devait être utilisé pour prévenir et traiter la cystinose affectant la cornée. La cystinose est une maladie héréditaire rare causée par l'accumulation d'une substance appelée la cystéine, qui forme des cristaux à l'intérieur des cellules, notamment les cellules de la cornée et des reins.

Dropcys a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour les maladies rares) le 15 octobre 2014 pour le traitement de la cystinose. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles ici. ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Les médicaments contenant du chlorhydrate de mercaptamine sont autorisés dans l'UE pour une utilisation dans le traitement de la cystinose. Les formulations ophtalmiques (pour l'œil) de mercaptamine sont préparées localement et utilisées pour le traitement des symptômes oculaires.

Comment Dropcys devait-il agir?

L'accumulation de cristaux de cystéine à l'intérieur des cellules de la cornée peut endommager les yeux et provoquer de graves problèmes de vue. La substance active présente dans Dropcys, le chlorhydrate de mercaptamine, devait réagir avec la cystéine pour la dissoudre et former des substances pouvant être retirées des cellules. Lors de l'application du médicament dans l'œil, la quantité de cystéine dans les cellules de la cornée devait baisser, limitant ainsi les dommages au niveau de l'œil.

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

La mercaptamine étant utilisée depuis de nombreuses années pour traiter la cystinose et son utilisation étant bien établie, le demandeur a présenté des données provenant de la littérature médicale afin de justifier sa demande pour Dropcys.

Quelles ont été les principales réserves du CHMP ayant conduit au refus?

Le CHMP a considéré que les études provenant de la littérature médicale présentées pour justifier la demande étaient insuffisantes. Bien que le rôle des collyres à base de mercaptamine utilisés dans le traitement des dépôts dans la cornée apparaisse comme suffisamment démontré à travers la littérature, les recommandations cliniques actuelles et leur utilisation de routine dans des préparations hospitalières, il existe peu de données en faveur de l'efficacité de la concentration de mercaptamine utilisée dans Dropcys (solution à 0,1 %). En outre, le CHMP a émis des réserves quant aux autres ingrédients du médicament, à leur impact sur la sécurité à long terme, notamment chez les enfants, et à la stabilité et la stérilité de la solution une fois reconstituée.

Par conséquent, l'avis du CHMP était que les bénéfices de Dropcys n'étaient pas supérieurs à ses risques, et le comité a donc recommandé le refus de l'autorisation de mise sur le marché pour ce médicament.

Au cours du réexamen, le CHMP a de nouveau examiné les données fournies par la société. Le comité a confirmé son avis selon lequel l'efficacité de Dropcys dans le traitement des dépôts dans la cornée n'avait pas été suffisamment démontrée et qu'il subsistait des problèmes non résolus par rapport à la formulation, à la sécurité à long terme et à la stérilité du médicament. Le CHMP a ainsi réaffirmé sa précédente recommandation selon laquelle l'autorisation de mise sur le marché devait être refusée pour ce médicament.

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

La société a informé le CHMP qu'il n'y a actuellement aucun essai clinique et aucun programme d'utilisation empathique de Dropcys.