



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

A Scenesse-re (afamelanotid) vonatkozó forgalombahozatali engedély módosítására irányuló kérelem visszavonása

A Clinuvel Europe Limited visszavonta a Scenesse-re vonatkozó forgalombahozatali engedély módosítása iránti kérelmét, amelynek értelmében az alkalmazását az eritropoetikus protoporphyriában (EPP), egy ritka, fényérzékenységet okozó betegségben szenvedő serdülőkre is kiterjesztették.

A vállalat 2024. április 24-én vonta vissza a kérelmet.

Milyen típusú gyógyszer a Scenesse és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Scenesse egy, az EPP-ben szenvedő felnőttek kezelésére alkalmazott gyógyszer. EPP-ben szenvedő betegeknek a fénynek való kitettség olyan tünetekhez vezethet, mint a fájdalom és a bőr duzzanata, ami megakadályozza őket abban, hogy a szabadban vagy fényes helyeken tartózkodjanak. A Scenesse ezen tünetek megelőzésének vagy csökkentésének elősegítésére szolgál annak érdekében, hogy ezek a betegek normálisabb életet élhessenek.

A Scenesse 2014 decembere óta engedélyezett az EU-ban.

A Scenesse hatóanyaga az afamelanotid. A gyógyszer olyan implantátumok formájában kapható, amelyeket a beteg bőre alá fecskendeznek kéthavonta, magas napfénynek való kitettség előtt és alatt, pl. tavasszal és ősszel. Az implantátumok évenkénti száma attól függ, hogy a napsugárzás ellen mekkora védelemre van szükség. Évente három implantátum ajánlott; maximum 4 implantátum alkalmazható.

A Scenesse-t 2008. május 8-án az EPP tekintetében „ritka betegségek elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

A Scenesse alkalmazásával kapcsolatban további információ az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse

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



Milyen módosítás iránti kérelmet nyújtott be a vállalat?

A vállalat a Scenesse alkalmazásának a 12–17 éves, EPP-ben szenvedő serdülőkre történő kiterjesztését kérte. Az értékelési időszak alatt a vállalat 15 és 17 év közötti, 60 kg-ot meghaladó testsúlyú serdülőkre történő kiterjesztésre módosította a kérelmet.

Hogyan fejti ki hatását a Scenesse?

Az EPP-ben szenvedő betegeknél magas a protoporfirin IX nevű anyag szintje. A fénynek való kitettség esetén a protoporfirin IX az ebben a betegségben szenvedőknél jelentkező fájdalmas bőrreakciókat okoz.

A Scenesse hatóanyaga, az afamelanotid a bőrben serkenti egy eumelanin néven ismert, barnás-feketés pigment előállítását, amely napfénynek való kitettség esetén termelődik, hogy megvédje a bőrsejteket a káros fénysugaraktól. Az eumelanin bőrben való termelődésének serkentése révén a Scenesse csökkenti a bőr által felszívott fény mennyiségét, így segít megelőzni vagy csökkenteni ezeket a fájdalmas reakciókat.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy nyilvántartási vizsgálat adatait nyújtotta be, amelyben 7, 15–17 év közötti, EPP-ben szenvedő serdülő vett részt, akiket a Scenesse felnőtt formulációjával (a bőr alá rendszeres időközönként injektált implantátumokkal) kezeltek. Az adatok a betegektől származó, napvédő intézkedések alkalmazásával kapcsolatos beszámolókon, valamint a betegek által az életminőségi kérdőívre adott válaszokon alapulnak.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által benyújtott dokumentációt, és kidolgozta a kérdéslistákat. Miután az Ügynökség értékelte a vállalatnak a kérdéssorra adott válaszait, még mindig maradt néhány megoldatlan probléma.

Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által az Ügynökség kérdéseire adott válaszok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Scenesse alkalmazása nem engedélyezhető az EPP-ben szenvedő serdülők kezelésére.

Az Ügynökség úgy ítélte meg, hogy a vállalat nem nyújtott be elegendő és megbízható bizonyítékot a Scenesse serdülőknél kifejtett hatásosságának és biztonságosságának megállapításához, illetve az ebben a korcsoportban alkalmazandó legmegfelelőbb dózis meghatározásához. A vizsgálatban részt vevő serdülők a Scenesse felnőtt formulációját kapták. Serdülők esetében nem állt rendelkezésre adat a gyógyszer felszívódásának, módosulásának és a szervezetből való kiürülésének módjáról, illetve a szervezetre gyakorolt hatásáról ebben a betegcsoportban. A Scenesse biztonságosságára vonatkozóan serdülők esetében szintén nagyon kevés adat állt rendelkezésre.

Ezért az Ügynökség véleménye az volt, hogy a Scenesse előnyeinek és kockázatainak aránya az EPP-ben szenvedő serdülők kezelésében nem állapítható meg.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat kijelentette, hogy visszavonja kérelmét, mivel az Ügynökség által elvárt, a biztonságosságra és hatásosságra vonatkozó átfogó adatokat nem lehetett benyújtani.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a visszavonásnak a Scenesse-vel végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.

Mi történik a Scenesse-szel az EPP-ben szenvedő felnőttek kezelése vonatkozásában?

A Scenesse továbbra is engedélyezett az EPP-ben szenvedő felnőtteknél.