



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2016. április 1.
EMA/227275/2016
EMA/H/C/004038

Kérdések és válaszok

A Dropcys-ra (merkaptamin-hidroklorid) vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadásának elutasítása

A felülvizsgálat eredménye

2015. december 17-én az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) negatív véleményt fogadott el, amelyben javasolta a Dropcys-ra, a cisztin aminosav szaruhártyában (a szem elülső részét fedő áttetsző réteg) történő lerakódásának megelőzésére és kezelésére szolgáló készítmény forgalomba hozatali engedélyének elutasítását. Az EU-s engedély iránti kérelmet a Lucane Pharma vállalat nyújtotta be.

A kérelmező a vélemény felülvizsgálatát kérte. E kérelem indoklásának vizsgálatát követően a CHMP felülvizsgálta eredeti véleményét, és 2016. április 1-én megerősítette a forgalomba hozatali engedély elutasítását.

Milyen típusú gyógyszer a Dropcys?

A Dropcys egy merkaptamin-hidroklorid nevű (más néven ciszteamin-hidroklorid) hatóanyagot tartalmazó gyógyszer. Szemcsepphez való oldat készítésére szolgáló por és oldószer formájában tervezték forgalmazni.

Milyen alkalmazásra szánták a Dropcys-t?

A Dropcys-t a szaruhártyát megtámadó cisztinózis megelőzésére és kezelésére szánták. A cisztinózis a sejtekben – különösen a szaruhártya és a vese sejteiben – kristályokat képző cisztin nevű anyag felhalmozódása által okozott ritka, öröklött betegség.

A Dropcys 2014. október 15-én a cisztinózis tekintetében „ritka betegségek gyógyszere” minősítést kapott. A ritka betegség gyógyszerekénti minősítésről további információ itt található:

ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.



A merkaptamin-hidrokloridot tartalmazó gyógyszerek az EU-ban a cisztinózis szájon át történő kezelésére vannak engedélyezve. A merkaptamint tartalmazó természetes készítmények helyileg készülnek, és a szem tüneteinek kezelésére szolgálnak.

Milyen hatásmechanizmust várnak a Dropcys-tól?

A cisztinkristályok felhalmozódása a szaruhártya sejtjeiben károsíthatja a szemet, és súlyos látási problémákat okozhat. Arra számítottak, hogy a Dropcys hatóanyaga, a merkaptamin-hidroklorid, reakcióba lép a cisztinnel, feloldja azt, és ennek során olyan anyagok képződnek, amelyek eltávolíthatók a sejtekből. A gyógyszer szemben történő alkalmazásakor arra számítottak, hogy a cisztin mennyisége a szaruhártya sejtjeiben csökken, és ez korlátozza a szem károsodásának mértékét.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

Mivel a merkaptamint már sok éve használják a cisztinózis kezelésére, és alkalmazása megalapozott, a kérelmező a szakirodalomból származó adatokat nyújtott be a Dropcys-ra vonatkozó kérelme alátámasztására.

Melyek voltak a CHMP fő aggályai, amelyek az elutasításhoz vezettek?

A CHMP úgy vélte, hogy a kérelem alátámasztására benyújtott, a szakirodalomban publikált vizsgálatok nem elégségesek. Habár a merkaptamin szemcsepp szerepét a szaruhártya lerakódásainak kezelésében a szakirodalom, a jelenlegi klinikai javaslatok és a készítmény rutinszerű alkalmazása a kórházi készítményekben jelentős mértékben alátámasztani látszik, kevés, a merkaptamin Dropcys-ban alkalmazott koncentrációjának (0,1%-os oldat) hatékonyságát igazoló adat állt rendelkezésre. Ezenkívül a CHMP-nek aggályai merültek fel a gyógyszer egyéb segédanyagaival kapcsolatban is, azoknak a hosszú távú biztonságosságra gyakorolt hatását illetően, különösen gyermekeknél, valamint az oldatnak az elkészítés utáni stabilitására és sterilítésére vonatkozóan.

Ezért a CHMP azt a véleményt fogalmazta meg, hogy a Dropcys előnyei nem haladják meg a kockázatokat, és a forgalomba hozatali engedély kiadásának elutasítását javasolta.

A felülvizsgálat során a CHMP ismételten megvizsgálta a vállalat által benyújtott adatokat. A bizottság megerősítette azt a véleményét, miszerint a Dropcys hatékonyságát a szaruhártya-lerakódások kezelésében nem igazolták kellően, és hogy megoldatlan kérdések maradtak a gyógyszerforma tekintetében, valamint a készítmény hosszú távú biztonságosságát és sterilítését illetően. Ezért a CHMP megerősítette korábbi javaslatát, miszerint a gyógyszer forgalomba hozatali engedélyének kiadását meg kell tagadni.

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

A vállalat tájékoztatta a CHMP-t, hogy jelenleg nem folynak a Dropcys-szal végzett klinikai vizsgálatok és engedélyezés előtti kezelési programok.