



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ritiro della domanda di modifica dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Scenesse (afamelanotide)

Clinuvel Europe Limited ha ritirato la domanda di modifica dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Scenesse finalizzata a estenderne l'uso agli adolescenti affetti da protoporfiria eritropoietica (PPE), una malattia rara che causa intolleranza alla luce.

La ditta ha ritirato la domanda il 24 aprile 2024.

Che cos'è Scenesse e per cosa si usa?

Scenesse è un medicinale usato per il trattamento di adulti affetti da PPE. Nei pazienti affetti da PPE, l'esposizione alla luce può portare a sintomi quali dolore e gonfiore della pelle, impedendo di trascorrere tempo all'aperto o in luoghi con luce intensa. Scenesse è utilizzato per contribuire a prevenire o ridurre questi sintomi, in modo che questi pazienti possano condurre una vita più normale.

Scenesse è autorizzato nell'UE sin dal dicembre 2014.

Scenesse contiene il principio attivo afamelanotide. Il medicinale è disponibile sotto forma di impianti iniettati sotto la pelle del paziente una volta ogni 2 mesi, prima e durante i periodi di elevata esposizione alla luce solare, ad esempio dalla primavera all'autunno. Il numero di impianti all'anno dipende dalla quantità di protezione dal sole necessaria. Sono raccomandati tre impianti all'anno; il numero massimo è di quattro.

Scenesse è stato qualificato come «medicinale orfano» (medicinale utilizzato nelle malattie rare) l'8 maggio 2008 per la PPE. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

Ulteriori informazioni sugli usi di Scenesse sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse.



Quale modifica aveva richiesto la ditta?

La ditta aveva richiesto di estendere l'uso di Scenesse agli adolescenti di età compresa tra 12 e 17 anni affetti da PPE. Durante la valutazione, la ditta ha modificato la richiesta per gli adolescenti di età compresa tra 15 e 17 anni e di peso superiore a 60 kg.

Come agisce Scenesse?

I pazienti affetti da PPE presentano livelli elevati di una sostanza denominata protoporfirina IX. Quando esposta alla luce, protoporfirina IX provoca le reazioni cutanee dolorose osservate nelle persone affette da questa malattia.

Il principio attivo di Scenesse, afamelanotide, stimola la produzione di un pigmento bruno-nero nella pelle, noto come eumelanina, prodotto durante l'esposizione alla luce solare per proteggere le cellule cutanee da raggi luminosi dannosi. Stimolando la produzione di eumelanina nella cute, Scenesse riduce la quantità di luce assorbita da quest'ultima, contribuendo in tal modo a prevenire o ridurre queste reazioni dolorose.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i dati di uno studio osservazionale condotto su 7 adolescenti di età compresa tra 15 e 17 anni affetti da PPE, che sono stati trattati con la formulazione di Scenesse per adulti (impianti iniettati per via sottocutanea a intervalli regolari). I dati si basano su segnalazioni di pazienti in merito a quali misure di protezione solare hanno utilizzato e sulle risposte dei pazienti a un questionario sulla qualità della vita.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La domanda è stata ritirata dopo che l'Agenzia europea per i medicinali aveva valutato le informazioni fornite dalla ditta e aveva preparato domande. Dopo la valutazione da parte dell'Agenzia delle risposte della ditta alle domande, alcuni problemi erano rimasti irrisolti.

Qual era la raccomandazione dell'Agenzia a quel punto?

In base all'esame delle informazioni e delle risposte fornite dalla ditta alle domande poste dall'Agenzia, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia aveva alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Scenesse non potesse essere autorizzato per il trattamento degli adolescenti con PPE.

L'Agenzia ha ritenuto che la ditta non avesse fornito prove sufficienti e solide per determinare l'efficacia e la sicurezza di Scenesse negli adolescenti o per definire la dose più appropriata da utilizzare in questa fascia di età. Agli adolescenti che hanno preso parte allo studio è stata somministrata la formulazione di Scenesse riservata agli adulti. Non vi sono dati sul modo in cui il medicinale viene assorbito, modificato ed eliminato dall'organismo negli adolescenti e sui suoi effetti nell'organismo in questo gruppo di pazienti. Anche i dati sulla sicurezza di Scenesse negli adolescenti sono molto limitati.

Pertanto, l'Agenzia ritiene che non sia stato possibile stabilire l'equilibrio tra benefici e rischi di Scenesse nel trattamento degli adolescenti affetti da PPE.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella [lettera](#) con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato di aver preso questa decisione in quanto non era possibile fornire i dati completi sulla sicurezza e sull'efficacia attesi dall'Agenzia.

Il ritiro della domanda ha conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole?

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici o in programmi di uso compassionevole con Scenesse.

Le persone inserite in uno studio clinico o in un programma di uso compassionevole che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico dello studio clinico.

Che cosa succede nel caso di Scenesse usato per il trattamento di adulti affetti da PPE?

Scenesse continua ad essere autorizzato negli adulti affetti da PPE.