



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1° aprile 2016  
**EMA/227275/2016**  
EMA/H/C/004038

## Domande e risposte

---

# Rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Dropcys (mercaptamina cloridrato)

## Esito del riesame

Il 17 dicembre 2015 il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha adottato un parere negativo raccomandando il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale Dropcys, destinato a prevenire e curare l'accumulo dell'aminoacido cistina nella cornea (membrana trasparente che riveste la parte anteriore dell'occhio). La ditta che ha presentato la richiesta di autorizzazione nell'UE è Lucane Pharma.

Il richiedente ha chiesto un riesame del parere negativo. Dopo aver considerato le motivazioni di tale richiesta, il CHMP ha riesaminato il parere iniziale, confermando il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio il 1° aprile 2016.

## Che cos'è Dropcys?

Dropcys è un medicinale che contiene il principio attivo mercaptamina cloridrato (noto anche come cisteamina cloridrato). Doveva essere disponibile come polvere e solvente per la preparazione di una soluzione per gocce oculari.

## Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Dropcys?

Dropcys avrebbe dovuto essere usato per la prevenzione e la cura della cistinosi che colpisce la cornea. La cistinosi è una malattia rara ereditaria causata dall'accumulo di una sostanza denominata cistina, che forma cristalli all'interno delle cellule, in particolare delle cellule della cornea e dei reni.

In data 15 ottobre 2014 Dropcys è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) per il trattamento della cistinosi. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili al seguente indirizzo: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).



Medicinali contenenti mercaptamina cloridrato sono autorizzati nell'UE per somministrazione per via orale nella cura della cistinosi. Le formulazioni di mercaptamina per uso oftalmico (oculare) sono preparate localmente e utilizzate per controllare i sintomi oculari.

### **Come avrebbe dovuto agire Dropcys?**

L'accumulo di cristalli di cistina all'interno delle cellule corneali può danneggiare gli occhi e causare gravi problemi visivi. Il principio attivo presente in Dropcys, mercaptamina cloridrato, doveva reagire con la cistina per dissolverla e formare sostanze che potessero essere eliminate dalle cellule. Con l'applicazione del medicinale a livello dell'occhio, il quantitativo di cistina nelle cellule della cornea doveva ridursi, limitando i danni oculari.

### **Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?**

Poiché la mercaptamina è utilizzata da molti anni per il trattamento della cistinosi e il suo impiego è ben noto, il richiedente ha presentato dati tratti dalla letteratura medica a sostegno della sua domanda per Dropcys.

### **Quali sono stati i principali motivi che hanno portato il CHMP a raccomandare il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio?**

Il CHMP ha ritenuto che gli studi tratti dalla letteratura medica presentati a sostegno della domanda fossero insufficienti. Sebbene il ruolo delle gocce oculari di mercaptamina nel trattamento dei depositi corneali appaia sufficientemente avvalorato dalla letteratura, dalle attuali raccomandazioni cliniche e dal suo uso abituale in preparazioni ospedaliere, vi erano scarsi dati a sostegno dell'efficacia della concentrazione di mercaptamina impiegata in Dropcys (soluzione allo 0,1 %). Inoltre, il CHMP nutreva preoccupazioni riguardo ad altri ingredienti del medicinale, al loro impatto sulla sicurezza a lungo termine, in particolare nei pazienti pediatrici, e su quanto la soluzione si manterrebbe stabile e sterile dopo la preparazione.

Il CHMP ha quindi ritenuto che i benefici di Dropcys non superassero i rischi e ha raccomandato il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

Durante il riesame, il CHMP ha analizzato nuovamente i dati forniti dalla ditta. Il comitato ha confermato il parere secondo cui l'efficacia di Dropcys nel trattamento dei depositi corneali non era stata sufficientemente dimostrata; inoltre, sussistevano questioni irrisolte riguardo alla formulazione e alla sicurezza e sterilità a lungo termine del medicinale. Il CHMP ha pertanto confermato la sua raccomandazione iniziale di non rilasciare al medicinale l'autorizzazione all'immissione in commercio.

### **Quali sono le conseguenze di questo rifiuto per i pazienti inseriti in studi clinici o programmi di uso compassionevole?**

La ditta ha informato il CHMP che non sono in corso sperimentazioni cliniche o programmi di uso compassionevole con Dropcys.