



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2024 m. gegužės 31 d.
EMA/243052/2024
EMA/H/C/002548/II/0044

Paraiškos leisti keisti Scenesse (afamelanotido) registracijos pažymėjimo sąlygas atsiėmimas

„Clinuvel Europe Limited“ atsiėmė savo paraišką pakeisti Scenesse registracijos pažymėjimo sąlygas, kad jį būtų galima naudoti ir paaugliams, sergantiems eritropoetine protoporfirija (EP) – reta liga, sukeliančia šviesos netoleravimą.

2024 m. balandžio 24 d. bendrovė paraišką atsiėmė.

Kas yra Scenesse ir kam jis vartojamas?

Scenesse – tai vaistas, kuriuo gydomi EP sergantys suaugusieji. EP sergantiems pacientams šviesos poveikis gali sukelti tokius simptomus kaip odos skausmas ir patinimas, todėl tokie pacientai negali būti lauke arba ten, kur yra daug šviesos. Scenesse skiriamas siekiant padėti pacientams išvengti šių simptomų arba juos palengvinti, kad jų gyvenimas būtų kuo įprastesnis.

Europos Sąjungoje Scenesse įregistruotas nuo 2014 m. gruodžio mėn.

Scenesse sudėtyje yra veikliosios medžiagos afamelanotido. Vaistas tiekiamas kaip implantas, švirkščiamas po paciento oda kas 2 mėnesius prieš intensyvios saulės šviesos laikotarpį ir intensyvios saulės šviesos laikotarpiu, pvz., nuo pavasario iki rudens. Per metus panaudojamų implantų skaičius priklauso nuo to, kokio stiprumo apsaugos nuo saulės pacientui reikia. Per metus rekomenduojama panaudoti tris implantus, bet ne daugiau kaip 4.

2008 m. gegužės 8 d. Scenesse buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal EP gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

Daugiau informacijos apie Scenesse vartojimo indikacijas rasite agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse



Dėl kokio pakeitimo bendrovė pateikė paraišką?

Bendrovė pateikė paraišką išplėsti Scenesse vartojimo indikacijų sąrašą – įtraukti EP sergančius 12–17 metų paauglius. Vertinimo metu bendrovė pakeitė prašymą – prašė įtraukti indikaciją 15–17 metų paaugliams, sveriantiems daugiau kaip 60 kg.

Kaip veikia Scenesse?

EP sergančių pacientų organizme yra daug medžiagos, vadinamos protoporfirinu IX. Šviesos veikiamas protoporfirinas IX šia liga sergantiems žmonėms sukelia skausmingas odos reakcijas.

Veiklioji Scenesse medžiaga afamelanotidas skatina rudai juodo odos pigmento, vadinamo eumelaninu, gamybą. Šis esant saulės šviesos poveikiui gaminamas pigmentas apsaugo odos ląsteles nuo kenksmingų šviesos spindulių. Skatindamas eumelanino gamybą odoje, Scenesse mažina odos prasiskverbimą pro odą ir taip padeda išvengti šių skausmingų reakcijų arba jas sumažinti.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė duomenis iš registro, kuriame buvo duomenys apie 7 EP sergančius 15–17 metų paauglius, kurie buvo gydomi suaugusiems skirta Scenesse forma (paprastai po oda švirkščiamais implantais). Šie duomenys paimti iš pacientų pranešimų apie tai, kokias apsaugos nuo saulės priemones jie naudojo, ir pacientų atsakymų klausimus apie gyvenimo kokybę.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta po to, kai Europos vaistų agentūra buvo įvertinusi bendrovės pateiktą informaciją ir parengusi klausimus. Agentūrai įvertinus bendrovės atsakymus į jai pateiktus klausimus, vis dar buvo likę neišspręstų klausimų.

Kokia tuo metu buvo agentūros rekomendacija?

Remdamasi peržiūrėta informacija ir bendrovės atsakymais į jos parengtus klausimus, paraiškos atsiėmimo metu agentūra dar turėjo abejonių ir buvo priėmusi negalutinę nuomonę, kad Scenesse negalima skirti EP sergantiems paaugliams gydyti.

Agentūra laikėsi nuomonės, kad bendrovė nepateikė pakankamai patikimų duomenų, kurie patvirtintų Scenesse veiksmingumą ir saugumą paaugliams arba leistų nustatyti šiai amžiaus grupei tinkamiausią dozę. Tyrime dalyvavusiems paaugliams buvo skiriamas suaugusiems skirtas Scenesse preparatas. Duomenų apie tai, kaip vaistas įsisavinamas, modifikuojamas ir pašalinamas iš paauglių organizmo, ir apie jo poveikį šios grupės pacientų organizmui, nepateikta. Duomenų apie Scenesse saugumą paaugliams taip pat pateikta labai nedaug.

Todėl agentūra laikėsi nuomonės, kad negalima nustatyti Scenesse naudos ir rizikos santykio EP sergantiems vaikams.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

[Laiške](#), kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė savo paraišką atsiimanti dėl to, kad negalėjo pateikti išsamių saugumo ir veiksmingumo duomenų, kurių agentūra tikėjosi.

Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė pranešė agentūrai, kad tai neturės jokių pasekmių klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose dalyvaujantiems Scenese vartojantiems pacientams.

Jeigu dalyvaujate klinikiname tyrime arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie jums taikomą gydymą, pasikalbėkite su savo klinikinio tyrimo gydytoju.

Ar keičiasi Scenese vartojimas pagal EP sergančių suaugusiųjų gydymo indikacijas?

Scenese ir toliau leidžiama gydyti suaugusius pacientus, sergančius EP.