



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2024. gada 31. maijs
EMA/243052/2024
EMA/H/C/002548/II/0044

Scenesse (afamelanotīds) reģistrācijas apliecības izmaiņu pieteikuma atsaukšana

Clinuvel Europe Limited atsauc *Scenesse* reģistrācijas apliecības izmaiņu pieteikumu, lai paplašinātu tās lietošanu pusaudžiem ar eritropoētisko protoporfīriju (EPP) — retu slimību, kas izraisa gaismas nepanesamību.

Uzņēmums pieteikumu atsauc 2024. gada 24. aprīlī.

Kas ir *Scenesse* un kāpēc tās lieto?

Scenesse ir zāles, ko lieto, lai ārstētu pieaugušos ar EPP. Pacienti ar EPP gaismas iedarbība var izraisīt tādus simptomus kā sāpes un ādas pietūkums, kas neļauj viņiem atrasties ārpus telpām vai vietās ar spilgtu gaismu. *Scenesse* lieto, lai palīdzētu novērst vai mazināt šos simptomus, lai šie pacienti varētu dzīvot normālāku dzīvi.

Scenesse ir reģistrētas ES kopš 2014. gada decembra.

Scenesse satur aktīvo vielu afamelanotīdu. Šīs zāles ir pieejamas kā implantīti, ko injicē zem pacienta ādas reizi divos mēnešos pirms spēcīgas saules gaismas iedarbības uz ādu periodiem un to laikā, piemēram, no pavasara līdz rudenim. Implantu skaits gadā ir atkarīgs no tā, cik liela aizsardzība pret sauli ir nepieciešama. Ieteicams izmantot trīs implantus gadā; maksimālais skaits ir četri implantīti.

Scenesse 2008. gada 8. maijā tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss EPP ārstēšanai. Sīkāka informācija par reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama EMA tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

Sīkāka informācija par *Scenesse* lietošanu ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse

Kādas izmaiņas uzņēmums pieteica?

Uzņēmums iesniedza pieteikumu paplašināt *Scenesse* lietošanu pusaudžiem ar EPP vecumā no 12 līdz 17 gadiem. Novērtēšanas laikā uzņēmums grozīja pieprasījumu uz pusaudžiem vecumā no 15 līdz 17 gadiem, kuru ķermeņa masa ir vairāk nekā 60 kg.



Kā *Scenesse* darbojas?

Pacienti ar EPP ir augsts vielas, ko dēvē par protoporfirīnu IX, līmenis. Saskaroties ar gaismu, protoporfirīns IX izraisa sāpīgas ādas reakcijas, kas novērotas cilvēkiem ar šo slimību.

Scenesse aktīvā viela afamelanotīds stimulē tumšbrūnā ādas pigmenta veidošanos, ko dēvē par eimelanīnu, kas veidojas saules gaismas iedarbības laikā, lai aizsargātu ādas šūnas no kaitīgiem gaismas stariem. Stimulējot eimelanīna veidošanos ādā, *Scenesse* samazina ādas absorbētās gaismas daudzumu, tādējādi palīdzot novērst vai samazināt šīs sāpīgās reakcijas.

Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza datus no reģistra pētījuma, kurā bija iekļauti septiņi pusaudži vecumā no 15 līdz 17 gadiem ar EPP, kuri tika ārstēti ar pieaugušajiem paredzētu *Scenesse* preparātu (implanti, ko regulāri injicē zem ādas). Dati ir balstīti uz pacientu ziņojumiem par to, kādus saules aizsardzības līdzekļus viņi izmantoja, un uz pacientu atbildēm uz anketas par dzīves kvalitāti jautājumiem.

Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauc?

Pieteikumu atsauc, kad Eiropas Zāļu aģentūra bija izvērtējusi uzņēmuma iesniegto informāciju un sagatavojusi jautājumus. Novērtējusi uzņēmuma sniegtās atbildes uz jautājumiem, Aģentūra konstatēja, ka dažas problēmas vēl nav atrisinātas.

Kāds bija aģentūras ieteikums tajā laikā?

Pamatojoties uz izskatītajiem datiem un uzņēmuma atbildēm uz aģentūras jautājumiem, atsaukšanas brīdī aģentūrai bija daži iebildumi, un aģentūra tobrīd provizoriski atzina, ka *Scenesse* nevarēja apstiprināt EPP ārstēšanai pusaudžiem.

Aģentūra uzskatīja, ka uzņēmums nav iesniedzis pietiekamus un pārliecinošus pierādījumus, lai noteiktu *Scenesse* efektivitāti un drošumu pusaudžiem vai lai definētu vispiemērotāko devu lietošanai šajā vecuma grupā. Pētījumā iekļautie pusaudži lietoja *Scenesse* pieaugušajiem paredzēto zāļu formu. Nebija datu par to, kā šīs zāles uzsūcas, pārveidojas un tiek izvadītas no pusaudžu organisma, kā arī par to ietekmi uz šīs pacientu grupas organismu. Arī dati par *Scenesse* drošumu pusaudžiem bija ļoti ierobežoti.

Tāpēc aģentūra uzskatīja, ka nav iespējams noteikt *Scenesse* ieguvumu un risku attiecību, ārstējot pusaudžus ar EPP.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

[Vēstulē](#), kurā uzņēmums informēja aģentūru par pieteikuma atsaukšanu, tas paziņoja, ka ir atsaucis pieteikumu, jo nebija iespējams sniegt Aģentūras pieprasītos visaptverošos datus par drošumu un efektivitāti.

Vai šis atsaukums ietekmē pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās?

Uzņēmums informēja aģentūru, ka pacientus, kuri pašlaik piedalās *Scenesse* klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmā, tas neietekmēs.

Ja jūs pašlaik piedalāties klīniskā pētījumā vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par savu terapiju, jautāiet savam klīniskā pētījuma ārstam.

Kas notiek ar *Scenesse*, lai ārstētu pieaugušos ar EPP?

Scenesse joprojām ir reģistrētas pieaugušajiem ar EPP.