



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Intrekking van de aanvraag tot wijziging van de vergunning voor het in de handel brengen van Scenesse (afamelanotide)

Clinuvel Europe Limited heeft zijn aanvraag tot wijziging van de vergunning voor het in de handel brengen van Scenesse ingetrokken, die bedoeld was om het gebruik van het middel uit te breiden tot adolescenten met erytropoëtische protoporfyrie (EPP), een zeldzame ziekte die leidt tot lichtintolerantie.

Het bedrijf heeft de aanvraag op 24 april 2024 ingetrokken.

Wat is Scenesse en wanneer wordt het voorgeschreven?

Scenesse is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van volwassenen met EPP. Bij patiënten met EPP kan blootstelling aan licht leiden tot symptomen zoals pijn en zwelling van de huid, waardoor zij geen tijd buiten of op plaatsen met helder licht kunnen doorbrengen. Scenesse wordt gebruikt om deze symptomen te helpen voorkomen of te verminderen, zodat deze patiënten een meer normaal leven kunnen leiden.

Scenesse is sinds december 2014 toegelaten in de EU.

Scenesse bevat de werkzame stof afamelanotide. Het geneesmiddel is verkrijgbaar in de vorm van implantaten die om de 2 maanden onder de huid van de patiënt worden geïnjecteerd, vóór en tijdens perioden van hoge blootstelling aan zonlicht, bv. van het voorjaar tot de herfst. Het aantal implantaten per jaar hangt af van de benodigde mate van bescherming tegen de zon. Aanbevolen wordt om drie implantaten per jaar te gebruiken; het maximumaantal is vier.

Scenesse werd op 8 mei 2008 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten) voor de behandeling van EPP. Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

Meer informatie over het gebruik van Scenesse is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse



Voor welke wijziging had het bedrijf een aanvraag ingediend?

Het bedrijf diende een aanvraag in om het gebruik van Scenesse uit te breiden naar adolescenten van 12 tot 17 jaar oud met EPP. Tijdens de beoordeling wijzigde het bedrijf de aanvraag in uitbreiding tot adolescenten van 15 tot 17 jaar met een gewicht van meer dan 60 kg.

Hoe werkt Scenesse?

Patiënten met EPP hebben hoge concentraties van een stof genaamd protoporfyrine IX. Bij blootstelling aan licht veroorzaakt protoporfyrine IX de pijnlijke huidreacties die worden waargenomen bij mensen met deze aandoening.

De werkzame stof in Scenesse, afamelanotide, stimuleert de productie van een zwartbruin pigment in de huid, eumelanine genaamd, dat bij blootstelling aan zonlicht wordt geproduceerd om de huidcellen tegen schadelijke lichtstralen te beschermen. Door de productie van eumelanine in de huid te stimuleren, vermindert Scenesse de hoeveelheid licht die door de huid wordt opgenomen, waardoor deze pijnlijke reacties worden voorkomen of verminderd.

Welke documentatie heeft het bedrijf ingediend ter onderbouwing van de aanvraag?

Het bedrijf heeft gegevens overgelegd van een registerstudie onder 7 adolescenten in de leeftijd van 15 tot 17 jaar met EPP, die werden behandeld met de formulering van Scenesse voor volwassenen (implantaten die op regelmatige tijdstippen onder de huid worden geïnjecteerd). De gegevens zijn gebaseerd op meldingen van patiënten over welke zonnebeschermingsmaatregelen zij gebruikten en op de antwoorden van patiënten op een vragenlijst over de kwaliteit van leven.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

Het bedrijf trok de aanvraag in nadat het Europees Geneesmiddelenbureau de door het bedrijf verstrekte informatie had bestudeerd en vragen had opgesteld. Nadat het Geneesmiddelenbureau de antwoorden van het bedrijf op de vragen had bestudeerd, waren er toch nog onopgeloste punten.

Wat was de aanbeveling van het Geneesmiddelenbureau op dat moment?

Na bestudering van de informatie en het antwoord van het bedrijf op de vragen van het Geneesmiddelenbureau, had het Bureau op het ogenblik van de intrekking enkele bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat Scenesse niet kon worden goedgekeurd voor de behandeling van adolescenten met EPP.

Het Geneesmiddelenbureau was van oordeel dat het bedrijf onvoldoende robuust bewijs had geleverd om de werkzaamheid en veiligheid van Scenesse bij adolescenten vast te stellen of om de meest geschikte dosis voor deze leeftijdsgroep te bepalen. De in de studie opgenomen adolescenten kregen de voor volwassen bestemde formulering van Scenesse. Er waren geen gegevens over de wijze waarop het geneesmiddel bij adolescenten door het lichaam wordt opgenomen, omgezet en uitgescheiden en over de effecten ervan in het lichaam bij deze groep patiënten. Ook de gegevens over de veiligheid van Scenesse bij adolescenten waren zeer beperkt.

Daarom was het Geneesmiddelenbureau van mening dat de baten-risicoverhouding van Scenesse bij de behandeling van adolescenten met EPP niet kan worden vastgesteld.

Welke redenen gaf het bedrijf voor het intrekken van de aanvraag?

In zijn [brief](#) waarin het het Geneesmiddelenbureau in kennis stelt van de intrekking van de aanvraag, heeft het bedrijf verklaard zijn aanvraag in te trekken omdat het niet mogelijk was de door het Bureau verwachte volledige veiligheids- en werkzaamheidsgegevens te verstrekken.

Heeft deze intrekking gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?

Het bedrijf heeft het Geneesmiddelenbureau meegedeeld dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die momenteel deelnemen aan klinische proeven met Scenese, noch voor patiënten die het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend.

Indien u deelneemt aan een klinische proef of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgt en meer informatie wenst over uw behandeling, neem dan contact op met uw onderzoeksarts.

Wat gebeurt er met Scenese voor de behandeling van volwassenen met EPP?

Scenese is nog steeds toegelaten voor gebruik bij volwassenen met EPP.