



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 maja 2024 r.
EMA/243052/2024
EMA/H/C/002548/II/0044

Wycofanie wniosku o zmianę pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Scenesse (afmelanotyd)

Firma Clinuvel Europe Limited wycofała wniosek o zmianę pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu Scenesse w celu rozszerzenia jego stosowania na młodzież z protoporfirią erytropoetyczną (ang. *erythropoietic protoporphyria*, EPP) – rzadką chorobą powodującą nietolerancję na światło.

Firma wycofała wniosek w dniu 24 kwietnia 2024 r.

Co to jest produkt Scenesse i w jakim celu się go stosuje?

Produkt Scenesse jest lekiem stosowanym w leczeniu osób dorosłych z EPP. U pacjentów z EPP ekspozycja na światło może prowadzić do wystąpienia objawów takich jak ból i obrzęk skóry, które uniemożliwiają im spędzanie czasu na świeżym powietrzu lub w miejscach jasno oświetlonych. Produkt Scenesse stosuje się w celu zapobiegania tym objawom lub ich łagodzenia, tak aby pacjenci mogli prowadzić bardziej normalne życie.

Produkt Scenesse jest dopuszczony do obrotu w UE od grudnia 2014 r.

Substancją czynną zawartą w leku Scenesse jest afamelanotyd. Lek jest dostępny w postaci implantów wstrzykiwanych pod skórę pacjenta co 2 miesiące, przed ekspozycją na silne światło słoneczne i w okresach takiej ekspozycji, np. od wiosny do jesieni. Liczba implantów rocznie zależy od tego, na ile potrzebna jest ochrona przed słońcem. Zaleca się podawanie trzech implantów rocznie; maksymalna liczba implantów wynosi 4.

W dniu 8 maja 2008 r. lek Scenesse uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu EPP. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na stronie Agencji: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

Dalsze informacje na temat zastosowań leku Scenesse znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse



O jaką zmianę wnioskowała firma?

Firma złożyła wniosek o rozszerzenie zastosowania leku Scenesse na młodzież w wieku od 12 do 17 lat z EPP. W trakcie oceny firma dokonała zmiany we wniosku na młodzież w wieku od 15 do 17 lat o masie ciała powyżej 60 kg.

Jak działa produkt Scenesse

W organizmach pacjentów z EPP występuje wysoki poziom substancji o nazwie protoporfiryna IX. Po ekspozycji na światło protoporfiryna IX wywołuje u osób z tym schorzeniem bolesne reakcje skórne.

Substancja czynna leku Scenesse, afamelanotyd, stymuluje wytwarzanie brązowo-czarnego barwnika pigmentowego w skórze, znanego jako eumelanina, który jest wytwarzany podczas ekspozycji na światło słoneczne w celu ochrony komórek skóry przed szkodliwymi promieniami światła. Stymulując wytwarzanie eumelaniny w skórze, lek Scenesse ogranicza ilość światła wchłanianego przez skórę, pomagając w ten sposób zapobiegać bolesnym reakcjom lub je łagodzić.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła dane z badania rejestrowego, w którym wzięło udział 7 nastolatków w wieku od 15 do 17 lat z EPP, którzy otrzymywali lek Scenesse w postaci przeznaczonej dla osób dorosłych (implanty wstrzykiwane podskórnie w regularnych odstępach czasu). Dane opierają się na raportach pacjentów, na temat stosowanych przez nich środków ochrony przeciwsłonecznej oraz na odpowiedziach udzielonych przez pacjentów na kwestionariusz dotyczący jakości życia.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez Europejską Agencję Leków oceny informacji przedłożonych przez firmę i sformułowaniu listy pytań. Po tym, jak Agencja oceniła odpowiedzi firmy na pytania, kilka kwestii pozostało nierozwiązanych.

Jakie zalecenia wydała wówczas Agencja?

W momencie wycofania wniosku Agencja zgłosiła pewne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na pytania Agencji i wstępna opinia wskazywała, że lek Scenesse nie może zostać zatwierdzony w leczeniu młodzieży z EPP.

Agencja uznała, że firma nie przedstawiła wystarczających i wiarygodnych dowodów na określenie skuteczności i bezpieczeństwa stosowania leku Scenesse u młodzieży lub na określenie najwłaściwszej dawki do stosowania w tej grupie wiekowej. Młodzież, ujęta w badaniu, otrzymywała produkt Scenesse w postaci przeznaczonej dla osób dorosłych. Brak było danych dotyczących sposobu wchłaniania, modyfikowania i usuwania leku z organizmu u młodzieży oraz jego skutków w organizmie w tej grupie pacjentów. Dane dotyczące bezpieczeństwa stosowania leku Scenesse u młodzieży również były bardzo ograniczone.

W związku z tym Agencja wyraziła opinię, że nie można było ustalić stosunku korzyści i ryzyka związanego ze stosowaniem leku Scenesse w leczeniu nastolatków z EPP.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim [piśmie](#) powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofała wniosek, ponieważ nie było możliwe przedstawienie kompleksowych danych dotyczących bezpieczeństwa i skuteczności, których oczekiwała Agencja.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy z użyciem produktu Scenesse.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub programie leczenia ostatniej szansy i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu, należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie kliniczne.

Jakie działania podejmuje się w związku ze stosowaniem leku Scenesse w leczeniu osób dorosłych z EPP?

Lek Scenesse jest nadal dopuszczony do obrotu u osób dorosłych z EPP.