



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Retragerea cererii de modificare a autorizației de punere pe piață pentru Scenesse (afamelanotidă)

Clinuvel Europe Limited și-a retras cererea de modificare a autorizației de punere pe piață pentru Scenesse, pentru a extinde utilizarea medicamentului la adolescenți cu protoporfirie eritropoietică (PPE), o boală rară care provoacă intoleranță la lumină.

Compania și-a retras cererea la 24 aprilie 2024.

### Ce este Scenesse și pentru ce se utilizează?

Scenesse este un medicament utilizat pentru tratarea adulților cu PPE. La pacienții cu PPE, expunerea la lumină poate duce la simptome precum durere și umflarea pielii, care îi împiedică să petreacă timp în aer liber sau în locuri cu lumină puternică. Scenesse se utilizează pentru a ajuta la prevenirea sau reducerea acestor simptome, astfel încât acești pacienți să poată duce o viață mai normală.

Scenessen este autorizat în UE din decembrie 2014.

Scenesse conține substanța activă afamelanotidă. Medicamentul este disponibil sub formă de implanturi care se injectează subcutanat pacientului o dată la 2 luni, înainte și în timpul perioadelor de expunere prelungită la lumina soarelui, de exemplu din primăvară până în toamnă. Numărul de implanturi pe an depinde de gradul de protecție necesară împotriva soarelui. Se recomandă trei implanturi pe an, numărul maxim fiind 4.

Scenesse a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la 8 mai 2008, pentru PPE. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541).

Informații suplimentare cu privire la utilizările Scenesse se pot găsi pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse](https://ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse)

### Ce modificare solicitase compania?

Compania a solicitat extinderea utilizării Scenesse la adolescenți cu vârste cuprinse între 12 și 17 ani cu PPE. În timpul evaluării, compania a modificat cererea pentru adolescenți cu vârste cuprinse între 15 și 17 ani și greutatea peste 60 kg.



## Cum acționează Scenessen?

Pacienții cu PPE au niveluri mari ale unei substanțe numite protoporfirină IX. Când este expusă la lumină, protoporfirina IX provoacă reacții cutanate dureroase observate la persoanele careau această afecțiune.

Substanța activă din Scenesse, afamelanotida, stimulează producția unui pigment brun-negru în piele, numit eumelanină, care se produce în timpul expunerii la lumina soarelui pentru a proteja celulele pielii de razele luminoase dăunătoare. Stimulând producția de eumelanină în piele, Scenesse reduce cantitatea de lumină absorbită de piele, contribuind astfel la prevenirea sau reducerea acestor reacții dureroase.

## Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat date dintr-un studiu de registru care a cuprins 7 adolescenți cu vârste cuprinse între 15 și 17 ani cu PPE, care au fost tratați cu formula adultă a Scenesse (implanturi injectate subcutanat la intervale regulate). Datele se bazează pe rapoartele pacienților la care s-au folosit măsurile de protecție împotriva soarelui și pe răspunsurile pacienților la un chestionar privind calitatea vieții.

## În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce Agenția Europeană pentru Medicamente a evaluat informațiile furnizate de companie și a pregătit o serie întrebări. După evaluarea de către agenție a răspunsurilor companiei la întrebări, existau încă unele probleme nerezolvate.

## Care a fost recomandarea agenției în momentul respectiv?

Pe baza examinării informațiilor și a răspunsului companiei la întrebările agenției, la momentul retragerii cererii, agenția avea unele motive de îngrijorare, iar avizul său provizoriu a fost că Scenessen nu putea fi autorizat pentru tratamentul adolescenților cu PPE.

Agenția a considerat că compania nu a furnizat dovezi suficiente și solide pentru a determina eficacitatea și siguranța Scenesse la adolescenți sau pentru a defini doza cea mai adecvată pentru a fi utilizată la această grupă de vârstă. Adolescenții incluși în studiu au primit Scenesse în forma farmaceutică pentru adulți. Nu au existat date privind modul în care medicamentul este absorbit, modificat și eliminat din organism la adolescenți și privind efectele sale în organism la această grupă de pacienți. Datele privind siguranța Scenesse la adolescenți au fost, de asemenea, foarte limitate.

Prin urmare, în opinia agenției, nu s-a putut stabili un echilibru între beneficiile și riscurile Scenesse în tratamentul adolescenților cu PPE.

## Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În [scrisoarea](#) prin care compania înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că și-a retras cererea deoarece nu este posibil să furnizeze datele complete privind siguranța și eficacitatea preconizate de agenție.

## **Retragerea acestei cereri afectează pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?**

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional cu Scenesse.

Dacă participați la un studiu clinic sau la un program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului din cadrul studiului respectiv.

## **Ce se va întâmpla cu Scenesse pentru tratamentul adulților cu PPE?**

Scenesse continuă să fie autorizat pentru adulții cu PPE.