



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31. máj 2024
EMA/243052/2024
EMA/H/C/002548/II/0044

Stiahnutie žiadosti o zmenu povolenia na uvedenie na trh pre liek Scenesse (afamelanotid)

Spoločnosť Clinuvel Europe Limited stiahla svoju žiadosť o zmenu povolenia na uvedenie lieku Scenesse na trh s cieľom rozšíriť jeho používanie na dospelých s erytropoetickou protoporfýriou (PPE), čo je zriedkavé ochorenie, ktoré spôsobuje neznášanlivosť voči svetlu.

Spoločnosť stiahla svoju žiadosť 24. apríla 2024.

Čo je liek Scenesse a na čo sa používa?

Scenesse je liek, ktorý sa používa na liečbu dospelých s EPP. U pacientov s EPP môže vystavenie svetlu viesť k príznakom, ako je bolesť a opuch kože, ktoré im bránia tráviť čas vonku alebo na miestach s jasným svetlom. Liek Scenesse sa používa na prevenciu alebo zmiernenie týchto príznakov, aby títo pacienti mohli viesť normálnejší život.

Liek Scenesse je v EÚ povolený od decembra 2014.

Liek Scenesse obsahuje liečivo afamelanotid. Liek je dostupný vo forme implantátov, ktoré sa podávajú injekčne pod kožu pacienta raz za dva mesiace pred a počas období vysokej expozície slnečnému žiareniu, napr. od jari do jesene. Počet implantátov za rok závisí od toho, do akej miery je potrebná ochrana pred slnkom. Odporúčajú sa tri implantáty ročne, pričom maximálny počet je 4.

Liek Scenesse bol 8. mája 2008 označený za liek na ojedinelé ochorenia (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu EPP. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na ojedinelé ochorenia sa nachádza na webovom sídle agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

Ďalšie informácie o použití lieku Scenesse sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse

O akú zmenu spoločnosť požiadala?

Spoločnosť požiadala o rozšírenie používania lieku Scenesse na dospelých vo veku od 12 do 17 rokov s EPP. Počas posudzovania spoločnosť upravila žiadosť na dospelých vo veku od 15 do 17 rokov s hmotnosťou viac ako 60 kg.



Akým spôsobom liek Scenesse účinkuje?

Pacienti s EPP majú vysokú hladinu látky nazývanej protoporfyrín IX. Pri vystavení svetlu protoporfyrín IX spôsobuje bolestivé kožné reakcie pozorované u ľudí s týmto ochorením.

Liečivo lieku Scenesse, afamelanotid, stimuluje tvorbu hnedo-čierneho pigmentu v koži známeho ako eumelanín, ktorý vzniká pri vystavení slnečnému žiareniu na ochranu kožných buniek pred škodlivými lúčmi svetla. Stimulovaním tvorby eumelanínu v koži liek Scenesse znižuje množstvo svetla absorbovaného kožou, čím pomáha predchádzať týmto bolestivým reakciám alebo ich zmierňovať.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila údaje z registračnej štúdie, na ktorej sa zúčastnilo 7 dospievajúcich vo veku od 15 do 17 rokov s EPP, ktorí boli liečení formou lieku Scenesse určenou pre dospelých (implantáty, ktoré sa v pravidelných intervaloch podávajú pod kožu). Údaje vychádzajú zo správ pacientov o tom, ktoré opatrenia na ochranu pred slnečným žiarením použili, a z odpovedí pacientov na dotazník o kvalite života.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila informácie, ktoré spoločnosť predložila, a vypracovala zoznam otázok. Potom ako agentúra posúdila odpovede spoločnosti na otázky, ešte stále zostali niektoré otázky nevyriešené.

Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?

Na základe preskúmania informácií a odpovedí spoločnosti na otázky agentúry mala agentúra v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek Scenesse nemôže byť povolený na liečbu dospievajúcich s EPP.

Agentúra usúdila, že spoločnosť nepredložila dostatočné a spoľahlivé dôkazy na stanovenie účinnosti a bezpečnosti lieku Scenesse u dospievajúcich, alebo na stanovenie najvhodnejšej dávky, ktorá sa má použiť v tejto vekovej skupine. Dospievajúcim, ktorí sa zúčastnili na tejto štúdii, bola poskytnutá forma lieku Scenesse určená pre dospelých. Neboli k dispozícii žiadne údaje o tom, ako sa liek u dospievajúcich absorbuje, modifikuje a odstraňuje z tela a o jeho účinkoch v tele v tejto skupine pacientov. Údaje o bezpečnosti lieku Scenesse u dospievajúcich boli tiež veľmi obmedzené.

Agentúra preto dospela k názoru, že nebolo možné stanoviť pomer prínosu a rizík lieku Scenesse pri liečbe dospievajúcich s EPP.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že svoju žiadosť stiahla, pretože nie je možné predložiť úplné údaje o bezpečnosti a účinnosti, ktoré agentúra očakáva.

Má stiahnutie žiadosti nejaké dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškaniach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškaniach alebo na programoch na použitie lieku Scenesse v naliehavých prípadoch nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní alebo na programe na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.

Čo sa stane s liekom Scenesse, ktorý sa používa na liečbu dospelých s EPP?

Liek Scenesse je naďalej povolený u dospelých sPPE.