



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Umik vloge za spremembo dovoljenja za promet z zdravilom Scenesse (afamelanotid)

Podjetje Clinuvel Europe Limited je umaknilo vlogo za spremembo dovoljenja za promet z zdravilom Scenesse, da bi njegovo uporabo razširili na mladostnike z eritropoetsko protoporfirijo (EPP), tj. redko boleznijo, ki povzroča preobčutljivost za svetlobo.

Podjetje je vlogo umaknilo 24. aprila 2024.

Kaj je zdravilo Scenesse in za kaj se uporablja?

Scenesse je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje odraslih z eritropoetsko protoporfirijo. Pri bolnikih s tem obolenjem lahko izpostavljenost svetlobi povzroči simptome, kot sta bolečina in otekanje kože, zaradi česar se ne morejo zadrževati na prostem ali na mestih z močno svetlobo. Zdravilo Scenesse se uporablja za pomoč pri preprečevanju ali zmanjševanju teh simptomov, tako da lahko ti bolniki živijo bolj normalno.

Zdravilo Scenesse je v EU odobreno od decembra 2014.

Zdravilo Scenesse vsebuje učinkovino afamelanotid. Na voljo je v obliki implantatov, ki se injicirajo pod kožo bolnika enkrat vsaka dva meseca, pred in med obdobji visoke izpostavljenosti sončni svetlobi, npr. od pomladi do jeseni. Število implantatov na leto je odvisno od tega, kolikšna zaščita pred soncem je potrebna. Priporočeni so trije implantati na leto; največje dovoljeno število so štirje implantati.

Zdravilo Scenesse je bilo 8. maja 2008 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za eritropoetsko protoporfirijo. Več informacij o določitvi zdravila sirote je voljo na spletišču agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

Nadaljnje informacije o uporabi zdravila Scenesse so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse

Za katero spremembo je podjetje zaprosilo?

Podjetje je zaprosilo za razširitev uporabe zdravila Scenesse na mladostnike z eritropoetsko protoporfirijo, stare od 12 do 17 let. Med ocenjevanjem je podjetje spremenilo zahtevek na mladostnike od 15 do 17 let, ki tehtajo več kot 60 kg.



Kako zdravilo Scenesse deluje?

Bolniki z eritropoetsko protoporfirijo imajo visoke ravni snovi, imenovane protoporfirin IX. Ko je protoporfirin IX izpostavljen svetlobi, povzroča boleče kožne reakcije, opažene pri ljudeh s to boleznijo.

Učinkovina v zdravilu Scenesse, afamelanotid, spodbuja nastajanje rjavo-črnega pigmenta v koži, znanega kot evmelanin, ki nastaja med izpostavljenostjo sončni svetlobi, da zaščiti kožne celice pred škodljivimi žarki svetlobe. Zdravilo Scenesse s spodbujanjem tvorbe evmelanina v koži zmanjša količino svetlobe, ki jo absorbira koža, in s tem pomaga preprečiti ali zmanjšati te boleče reakcije.

Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predstavilo podatke iz študije registra, ki je vključevala sedem mladostnikov z eritropoetsko protoporfirijo, starih od 15 do 17 let, ki so bili zdravljeni s formulacijo zdravila Scenesse, namenjeno odraslim (implantati, ki se injicirajo pod kožo v rednih časovnih presledkih). Podatki temeljijo na poročilih bolnikov, pri katerih so uporabili ukrepe za zaščito pred soncem, in odgovorih bolnikov na vprašalnik o kakovosti življenja.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je Evropska agencija za zdravila že ocenila začetno dokumentacijo, ki jo je predložilo podjetje, in oblikovala seznam vprašanj. Potem ko je že ocenila odgovore podjetja na vprašanja, so nekatera vprašanja še vedno ostala nerešena.

Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?

Agencija je na podlagi pregleda podatkov in odgovorov podjetja na vprašanja, ki jih je zastavila, ob umiku vloge izrazila določene zadržke in začasno menila, da zdravilo Scenesse ni mogoče odobriti za zdravljenje mladostnikov z eritropoetsko protoporfirijo.

Agencija je menila, da podjetje ni predložilo zadostnih in trdnih dokazov za določitev učinkovitosti in varnosti zdravila Scenesse pri mladostnikih ali za določitev najprimernejšega odmerka za uporabo v tej starostni skupini. Mladostniki, vključeni v študijo, so prejeli formulacijo zdravila Scenesse za odrasle. Podatki o tem, kako se zdravilo absorbira, spremeni in odstrani iz telesa pri mladostnikih, in o njegovih učinkih v telesu pri tej skupini bolnikov niso bili na voljo. Podatki o varnosti zdravila Scenesse pri mladostnikih so bili prav tako zelo omejeni.

Zato je agencija menila, da ni mogoče vzpostaviti ravnovesja med koristmi in tveganji, povezanimi z zdravilom Scenesse pri zdravljenju mladostnikov z eritropoetsko protoporfirijo.

Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestilo o umiku vloge, navedlo, da se je za umik vloge odločilo, ker ni bilo mogoče zagotoviti celovitih podatkov o varnosti in učinkovitosti, ki jih je pričakovala agencija.

Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?

Podjetje je agencijo obvestilo, da zavrnitev nima posledic za bolnike, vključene v klinična preskušanja ali programe sočutne uporabe zdravila Scenesse.

Če ste vključeni v klinično preskušanje ali program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki sodeluje v kliničnem preskušanju.

Kaj to pomeni za nadaljnjo uporabo zdravila Scenesse za zdravljenje odraslih z eritropoetsko protoporfirijo?

Zdravilo Scenesse je še naprej odobreno pri odraslih z eritropoetsko protoporfirijo.