



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Återkallande av ansökan om ändring av godkännande för försäljning av Scenesse (afamelanotid)

Clinuvel Europe Limited återkallade sin ansökan om en ändring av godkännandet för försäljning av Scenesse för att utvidga dess användning till ungdomar med erytropoetisk protoporfyri (EPP), en sällsynt sjukdom som orsakar intolerans mot ljus.

Företaget återkallade sin ansökan den 24 april 2024.

Vad är Scenesse och vad används det för?

Scenesse är ett läkemedel som används för att behandla vuxna med EPP. Hos patienter med EPP kan exponering för ljus leda till symtom som smärta och svullnad i huden, vilket hindrar dem från att kunna tillbringa tid utomhus eller på platser med starkt ljus. Scenesse används för att förebygga eller minska dessa symtom så att dessa patienter kan leva ett mer normalt liv.

Scenesse har varit godkänt i EU sedan december 2014.

Scenesse innehåller den aktiva substansen afamelanotid. Läkemedlet finns som implantat som injiceras under patientens hud en gång varannan månad, före och under perioder med hög exponering för solljus, t.ex. från vår till höst. Antalet implantat per år beror på hur mycket skydd mot solen som behövs. Tre implantat per år rekommenderas, men det maximala antalet är fyra.

Scenesse klassificerades den 8 maj 2008 som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) mot EPP. Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-08-541.

Mer information om Scenesse användningar finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/scenesse

Vilken ändring hade företaget ansökt om?

Företaget ansökte om att utvidga användningen av Scenesse till ungdomar i åldern 12–17 år med EPP. Under bedömningen modifierade företaget ansökan till ungdomar från 15–17 år som väger mer än 60 kg.



Hur verkar Scenesse?

Patienter med EPP har höga nivåer av en substans som kallas protoporfyrin IX. Vid exponering för ljus orsakar protoporfyrin IX de smärtsamma hudreaktioner som ses hos personer med denna sjukdom.

Den aktiva substansen i Scenesse, afamelanotid, stimulerar produktionen av ett brunsvart pigment i huden, eumelanin, som bildas vid exponering för solljus för att skydda hudcellerna mot skadliga ljusstrålar. Genom att stimulera produktionen av eumelanin i huden minskar Scenesse den mängd ljus som tas upp av huden, vilket hjälper till att förebygga eller minska dessa smärtsamma reaktioner.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget presenterade data från en registerstudie som omfattade 7 ungdomar i åldern 15–17 år med EPP, som behandlades med den vuxna formuleringen av Scenesse (implantat som injiceras under huden med jämna mellanrum). Uppgifterna bygger på rapporter från patienter om vilka solskyddsåtgärder de använde och på patienternas svar på ett frågeformulär om livskvalitet.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att Europeiska läkemedelsmyndigheten hade utvärderat informationen från företaget och förberett frågor. Vissa frågetecken kvarstod när EMA hade utvärderat företagets svar på frågorna.

Vad rekommenderade myndigheten vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på myndighetens frågor hyste myndigheten vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Scenesse inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av ungdomar med EPP.

EMA fann att företaget inte hade lämnat tillräckliga och robusta belegg för att fastställa Scenesses effekt och säkerhet hos ungdomar, eller för att definiera den lämpligaste dosen som ska användas i denna åldersgrupp. De ungdomar som ingick i studien fick en vuxen formulering av Scenesse. Det fanns inga data om hur läkemedlet tas upp, modifieras och avlägsnas ur kroppen hos ungdomar och om dess effekter i kroppen hos denna grupp av patienter. Uppgifterna om Scenesses säkerhet hos ungdomar var också mycket begränsade.

Myndigheten ansåg därför att nytta-riskförhållandet för Scenesse vid behandling av ungdomar med EPP inte kunde fastställas.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I sin [skrivelse](#) till kemikaliemyndigheten om tillbakadragandet av ansökan uppgav företaget att det drog tillbaka sin ansökan eftersom det inte var möjligt att tillhandahålla de fullständiga uppgifter om säkerhet och effekt som myndigheten förväntade sig.

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade myndigheten om att återkallandet inte får några följder för patienter som deltar i kliniska prövningar eller i s.k. compassionate use-program med Scenesse.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.

Vad händer med Scenesse för behandling av vuxna med EPP?

Scenesse fortsätter att vara godkänt hos vuxna med EPP.