



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1 Април 2016 г.
EMA/227275/2016
EMA/H/C/004038

Въпроси и отговори

Отказ за издаване на разрешение за употреба за Dropsys (меркаптамин хидрохлорид)

Резултат от преразглеждането

На 17 декември 2015 г., Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) прие отрицателно становище, препоръчвайщо отказването на разрешение за употреба за лекарствения продукт Dropsys, предназначен за предотвратяване и третиране на натрупването на аминокиселинен цистин в роговицата (прозрачния слой пред окото). Компанията която кандидатства за разрешение за употреба е Lucrane Pharma.

Заявителят поиска преразглеждане на становището. След разглеждане на основанията за искането CHMP преразглежда първоначалното становище и потвърждава отказа на разрешение за употреба на 01 Април 2016 г.

Какво представлява Dropsys?

Dropsys представлява лекарство, което съдържа активното вещество меркаптамин хидрохлорид (също известно като цистеамин хидрохлорид). То трябваше да стане достъпно под формата на прах и разтвор, за изготвяне на разтвор за капки за очи.

За какво се очаква да се използва Dropsys?

Очаква се Dropsys да се използва за превенция и третиране на цистиноза засягаща роговицата. Цистинозата е рядко наследствено заболяване, причинено от акумулирането на вещество наречено цистин, което формира кристали в клетките, по-специално клетки в роговицата и бъбреците.

Dropsys е определено като лекарство сирак (лекарство за използване при редки заболявания) на 15 октомври 2014 за третиране на цистиноза. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак може да намерите тук: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.



Лекарства, съдържащи меркаптамин хидрохлорид, са разрешени за употреба в ЕС за перорално ползване при лечение на цистиноза. Офталмични (очни) формулировки на меркаптамин се смесват на местно ниво и се използват при овладяването на очни симптоми.

Как се очаква да действа Dropcys?

Натрупването на цистинови кристали в клетките на роговицата може да увреди очите и да предизвика сериозни проблеми със зрението. Очаквало се е активното вещество в Dropcys, меркаптамин хидрохлорид, да взаимодейства с цистин, да го разтвори и да формира, субстанции които могат да бъдат елиминирани от клетките. Очаквало се е когато лекарството се приложи на окото, количеството цистин в клетките на роговицата да намалее, като така ограничи увреждането на очите.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Тъй като меркаптамин се използва от много години за лечение на цистиноза и неговата употреба е добре установена, заявителят представи данни от медицинската литература в подкрепа на своята заявка за Dropcys.

Какви са основните опасения на CHMP, довели до отказа?

CHMP смята, че проучванията от медицинската литература, предоставени в подкрепа на заявката са недостатъчни. Въпреки, че ролята на меркаптаминовите капки за очи в лечението на депозити в роговицата изглежда достатъчно подкрепена от литературата, съвременните клинични препоръки и рутинното му използване като разтвор в болнични условия, са налице малко данни, подкрепящи ефективността на концентрацията меркаптамин, използвана в Dropcys (0,1% разтвор). В допълнение, CHMP има опасения относно съставките на лекарството, тяхното въздействие върху дългосрочната безопасност, по - специално при деца и колко стабилен и стерилен ще бъде веднъж приготвеният разтвор.

Поради това CHMP счита, че ползите от Dropcys не надвишават рисковете, и препоръчва да му бъде отказано разрешение за употреба.

По време на преразглеждането, CHMP отново разгледа данните от компанията. Комитетът потвърди становището, че ефективността на Dropcys в лечението на депозити в роговицата не е достатъчно доказана и че има, неразрешени проблеми относно формулировката и дългосрочната безопасност и стерилност на лекарството. Следователно, CHMP потвърди своята предишна препоръка на лекарството да бъде отказано разрешение за употреба.

Какви са последствията от отказа за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?

Фирмата уведомява CHMP, че понастоящем няма клинични изпитвания или програми с милосърдна цел с Dropcys.