



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1 Απριλίου 2016
EMA/227275/2016
EMA/H/C/004038

Ερωτήσεις και απαντήσεις

Απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Dropcys (υδροχλωρική μερκαπταμίνη)

Αποτέλεσμα επανεξέτασης

Στις 17 Δεκεμβρίου 2015, η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) εξέδωσε αρνητική γνώμη, εισηγούμενη την απόρριψη της αίτησης χορήγησης άδειας κυκλοφορίας για το φαρμακευτικό προϊόν Dropcys, το οποίο προορίζεται για την πρόληψη και τη θεραπεία της συσσώρευσης του αμινοξέος κυστίνη του κερατοειδούς χιτώνα (το διάφανο τμήμα του οφθαλμού μπροστά από την κόρη). Η εταιρεία που υπέβαλε αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην ΕΕ είναι η Lucane Pharma.

Ο αιτών ζήτησε επανεξέταση της γνώμης. Κατόπιν εξέτασης των λόγων της εν λόγω αίτησης, η CHMP επανεξέτασε την αρχική γνώμη και επιβεβαίωσε την απόρριψη της αίτησης χορήγησης άδειας κυκλοφορίας την 1η Απριλίου 2016.

Τι είναι το Dropcys;

Το Dropcys είναι φάρμακο που περιέχει τη δραστική ουσία υδροχλωρική μερκαπταμίνη (επίσης γνωστή ως υδροχλωρική κυστεαμίνη). Επρόκειτο να διατεθεί σε μορφή σκόνης και διαλύτη για την παρασκευή διαλύματος για οφθαλμικές σταγόνες.

Σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί το Dropcys;

Το Dropcys επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί για την πρόληψη και τη θεραπεία της κυστίνωσης που προσβάλλει τον κερατοειδή χιτώνα. Η κυστίνωση είναι μια σπάνια κληρονομική νόσος που προκαλείται από τη συσσώρευση μιας ουσίας που ονομάζεται κυστίνη, η οποία σχηματίζει κρυστάλλους στο εσωτερικό των κυττάρων, ιδιαίτερα των κυττάρων του κερατοειδούς χιτώνα και των νεφρών.

Το Dropcys χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χορηγείται για σπάνιες νόσους) στις 15 Οκτωβρίου 2014, για τη θεραπεία της κυστίνωσης. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό των ορφανών φαρμάκων διατίθενται εδώ: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.



Τα φάρμακα που περιέχουν υδροχλωρική μερκαπταμίνη έχουν λάβει άδεια κυκλοφορίας στην ΕΕ για από του στόματος χρήση για τη θεραπεία της κυστίνωσης. Τα οφθαλμικά σκευάσματα μερκαπταμίνης παρασκευάζονται τοπικά και χρησιμοποιούνται για τη διαχείριση των οφθαλμικών συμπτωμάτων.

Ποια είναι η αναμενόμενη δράση του Drogcys;

Η συσσώρευση κρυστάλλων κυστίνης στο εσωτερικό των κυττάρων του κερατοειδούς χιτώνα μπορεί να βλάψει τους οφθαλμούς και να προκαλέσει σοβαρά προβλήματα όρασης. Η δραστική ουσία του Drogcys, η υδροχλωρική μερκαπταμίνη, αναμενόταν να αντιδράσει με την κυστίνη με αποτέλεσμα τη διάλυση της κυστίνης και τον σχηματισμό ουσιών που θα μπορούσαν να απομακρυνθούν από τα κύτταρα. Κατά την εφαρμογή του φαρμάκου στον οφθαλμό, η ποσότητα κυστίνης στα κύτταρα του κερατοειδούς χιτώνα αναμενόταν να μειωθεί, περιορίζοντας την έκταση της οφθαλμικής βλάβης.

Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Επειδή η μερκαπταμίνη χρησιμοποιείται εδώ και πολλά χρόνια για τη θεραπεία της κυστίνωσης και η χρήση της είναι καλά τεκμηριωμένη, ο αιτών παρουσίασε δεδομένα από την ιατρική βιβλιογραφία προς στήριξη της αίτησής του για το Drogcys.

Ποιες είναι οι σημαντικότερες ανησυχίες οι οποίες οδήγησαν στην απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας από την CHMP;

Η CHMP έκρινε ότι οι μελέτες από την ιατρική βιβλιογραφία που παρουσιάστηκαν προς στήριξη της αίτησης ήταν ανεπαρκείς. Παρόλο που ο ρόλος των οφθαλμικών σταγόνων μερκαπταμίνης στη θεραπεία των εναποθέσεων στον κερατοειδή χιτώνα φαίνεται επαρκώς τεκμηριωμένος από τη βιβλιογραφία, τις τρέχουσες κλινικές συστάσεις και τη συνήθη χρήση της ουσίας σε νοσοκομειακά σκευάσματα, υπήρχαν λίγα δεδομένα που να στηρίζουν την αποτελεσματικότητα της συγκέντρωσης μερκαπταμίνης που χρησιμοποιείται στο Drogcys (διάλυμα 0,1%). Επιπλέον, η CHMP εξέφρασε ανησυχίες σχετικά με άλλα συστατικά του φαρμάκου και την επίδρασή τους στη μακροπρόθεσμη ασφάλεια, ιδίως σε παιδιά, καθώς και σχετικά με το κατά πόσο θα ήταν το διάλυμα σταθερό και στείρο μετά την παρασκευή του.

Ως εκ τούτου, η CHMP διατύπωσε τη γνώμη ότι τα οφέλη του Drogcys δεν υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την άρνηση χορήγησης άδειας κυκλοφορίας.

Κατά την επανεξέταση, η CHMP έλεγξε εκ νέου τα δεδομένα που υπέβαλε η εταιρεία. Η επιτροπή επιβεβαίωσε τη γνώμη ότι η αποτελεσματικότητα του Drogcys στη θεραπεία των εναποθέσεων στον κερατοειδή χιτώνα δεν είχε τεκμηριωθεί επαρκώς και ότι υπήρχαν ανεπίλυτα ζητήματα σχετικά με τη σύνθεση και τη μακροπρόθεσμη ασφάλεια και σταθερότητα του φαρμάκου. Συνεπώς, η CHMP επαναδιατύπωσε την προηγούμενη σύστασή της για άρνηση χορήγησης άδειας κυκλοφορίας.

Ποιες είναι οι επιπτώσεις από την απόρριψη της αίτησης στους ασθενείς που μετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;

Η εταιρεία ενημέρωσε τη CHMP ότι δεν υπάρχουν εν εξελίξει κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης με το Drogcys.