



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1. aprill 2016  
**EMA/227275/2016**  
EMA/H/C/004038

## Teabedokument

---

# Dropcysi (merkaptamiinvesinikkloriid) müügiloa andmisest keeldumine

## Taasläbivaatamise tulemused

Inimravimite komitee võttis 17. detsembril 2015 vastu negatiivse arvamuse, soovitades keelduda andmast ravimi Dropcys müügiluba. Dropcysi kavatseti kasutada aminohappe tsüstiini sarvkesta (läbipaistev kiht silma esiosas) kogunemise ennetamiseks ja raviks. Euroopa Liidu müügiluba taotles ettevõtte Lucane Pharma.

Taotleja nõudis arvamuse taasläbivaatamist. Pärast taotluse põhjenduste arutamist vaatas inimravimite komitee oma algse arvamuse uuesti läbi ja kinnitas müügiloa andmisest keeldumist 1. aprillil 2016.

## Mis on Dropcys?

Dropcys on ravim, mis sisaldab toimeainena merkaptamiinvesinikkloriidi (tsüsteamiinvesinikkloriidi). Seda kavatseti turustada silmatilkade lahuse pulbri ja lahustina.

## Milleks kavatseti Dropcysi kasutada?

Dropcysi kavatseti kasutada sarvkesta tsüstinoosi ennetamiseks ja raviks. Tsüstinoos on haruldane pärilik haigus, mida põhjustab rakkudes kristalle moodustava aine tsüstiini kogunemine eelkõige sarvkesta ja neerudesse.

Dropcys nimetati 15. oktoobril 2014 tsüstinoosi harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on siin: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Merkaptamiinvesinikkloriidi sisaldavatel ravimidel on Euroopa Liidus heaks kiidetud suukaudseks kasutamiseks tsüstinoosi raviks. Merkaptamiini oftalmilisi (silmade) ravimvormi valmistatakse kohapeal ja kasutatakse silmasümptomite raviks.



## **Milline on Dropcysi eeldatav toime?**

Tsüstiini kristallide kogunemine sarvkesta rakkudesse võib kahjustada silmi ja põhjustada raskeid nägemisprobleeme. Dropcysis toimeainena sisalduv merkaptamiinvesinikkloriid pidi eeldatavasti reageerima tsüstiiniga selle lahustamiseks ja moodustama aineid, mida saab rakkudest eemaldada. Ravimi silma manustamisel pidi sarvkesta rakkudes sisalduv tsüstiini kogus eeldatavasti vähenema, piirates silmakahjustusi.

## **Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?**

Et merkaptamiini on kasutatud tsüstinoosi ravis palju aastaid ja selle kasutus on hästi tõestatud, esitas taotleja Dropcysi taotluse toetuseks meditsiinikirjanduse andmeid.

## **Mis olid peamised põhjused, mille tõttu soovitas inimravimite komitee müügiloa andmisest keelduda?**

Inimravimite komitee leidis, et taotluse toetuseks meditsiinikirjandusest esitatud uuringud on ebapiisavad. Kuigi merkaptamiini sisaldavate silmatilkade roll sarvkesta ladestuste raviks näib olevat kirjanduse, kehtivate kliiniliste soovitustega ja rutiinse kasutamisega haiglapreparaatides piisavalt tõestatud, on Dropcysis kasutatava merkaptamiini kontsentratsiooni (0,1% lahus) efektiivsuse toetamiseks vähe andmeid. Samuti pidas inimravimite komitee probleemiks ravimi teisi koostisaineid, nende mõju pikaajalisele ohutusele (eelkõige lastel) ning lahuse stabiilsust ja steriilsust pärast valmistamist.

Inimravimite komitee oli seepärast arvamusel, et Dropcysi kasulikkus ei ole suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas müügiloa andmisest keelduda.

Taasläbivaatamisel vaatas inimravimite komitee ettevõttelt saadud andmed uuesti läbi. Komitee kinnitas arvamust, et Dropcysi efektiivsus sarvkesta ladestuste ravis ei ole piisavalt tõendatud ning et seoses ravimi koostise ja ravimi pikaajalise ohutuse ja steriilsusega on lahendamata probleeme. Seega kinnitas inimravimite komitee uuesti oma varasemat soovitus keelduda ravimile müügiloa andmisest.

## **Kuidas mõjutab keeldumine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?**

Ettevõtte teatas inimravimite komiteele, et Dropcysi kliinilisi uuringuid ega eriloaga kasutamise programme praegu ei toimu.