



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kysymyksiä ja vastauksia

---

# Lääkevalmisteen Dropcys (merkaptamiinihydrokloridi) myyntiluvan epääminen

## Uudelleenarvioinnin tulos

Lääkevalmistekomitea (CHMP) antoi 17. joulukuuta 2015 kielteisen lausunnon, jossa se suositteli Dropcys-lääkevalmisteen myyntiluvan epäämistä. Tämä lääke oli tarkoitettu ehkäisemään ja hoitamaan kystiini-nimisen aminohapon muodostumista sarveiskalvolle (läpinäkyvä kerros silmän etuosassa). Myyntilupaa EU:ssa hakenut yhtiö on Lucane Pharma.

Hakija pyysi, että lausuntoa tarkasteltaisiin uudestaan. Tutkittuaan pyynnön perustelut lääkevalmistekomitea käsitteli alkuperäisen lausuntonsa uudelleen ja vahvisti myyntiluvan epäämisen 1. huhtikuuta 2016.

## Mitä Dropcys on?

Dropcys on lääke, joka sisältää vaikuttavana aineena merkaptamiinihydrokloridia (tunnetaan myös nimellä kysteamiinihydrokloridi). Sen oli suunniteltu tulevan markkinoille kuiva-aineena ja liuottimena, josta valmistettaisiin liuos silmätippoja varten.

## Mihin Dropcysiä oli tarkoitus käyttää?

Dropcysillä oli tarkoitus ehkäistä ja hoitaa sarveiskalvon kystinoosia. Kystinoosi on harvinainen perinnöllinen sairaus, jonka aiheuttaa kystiini-nimisen aineen kertyminen elimistöön. Kystiini muodostaa kiteitä solujen sisään etenkin sarveiskalvon ja munuaisten soluissa.

Dropcys määritettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 15. lokakuuta 2014 kystinoosin hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on tässä: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).



EU:ssa on hyväksytty merkaptamiinihydrokloridia sisältäviä suun kautta otettavia lääkkeitä kystinoosin hoitoon. Merkaptamiinia sisältävät silmä lääkevalmisteet valmistetaan paikallisesti ja niillä hoidetaan silmien oireita.

## **Miten Dropcysin odotettiin vaikuttavan?**

Kystiinititeiden muodostuminen sarveiskalvosolujen sisälle voi vaurioittaa silmiä ja aiheuttaa vakavia näköongelmia. Dropcysin vaikuttavan aineen, merkaptamiinihydrokloridin, oletettiin reagoivan kystiinin kanssa siten, että kystiini hajoaisi ja muodostuisi aineita, jotka voitaisiin poistaa soluista. Kun lääkettä laitetaan silmään, kystiinin määrän sarveiskalvon soluissa oletettiin pienenevän, jolloin myös silmän vaurioituminen vähenee.

## **Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?**

Koska merkaptamiinia on käytetty monta vuotta kystinoosin hoidossa ja koska sen käyttö on hyvin vakiintunutta, hakija esitti lääketieteellisestä kirjallisuudesta peräisin olevia tietoja Dropcysin myyntilupahakemuksensa tueksi.

## **Mitkä olivat lääkevalmistekomitean tärkeimmät epäämiseen johtaneet huolenaiheet?**

Lääkevalmistekomitea katsoi, että lääketieteellisestä kirjallisuudesta peräisin olevat hakemuksen tueksi esitetyt tutkimukset olivat riittämättömät. Vaikka merkaptamiinisilmätippojen merkitys sarveiskalvon kertymien hoidossa vaikuttaa saavan riittävästi tukea kirjallisuudesta, nykyisistä kliinistä suosituksista ja siitä, että niiden käyttö on tavanomaista sairaalavalmisteissa, oli kuitenkin vain vähän sellaisia tietoja, jotka tukivat Dropcysissä (0,1 prosentin vahvuinen liuos) käytetyn merkaptamiinipitoisuuden tehoa. Lisäksi lääkevalmistekomitea oli huolissaan muista lääkkeen ainesosista, niiden vaikutuksesta pitkäaikaiseen turvallisuuteen etenkin lapsilla ja siitä, miten stabiili ja steriili käyttökuntoon saatettu liuos olisi.

Tämän vuoksi lääkevalmistekomitea totesi tuolloin, ettei Dropcysin hyöty ollut sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan epäämistä tältä valmisteelta.

Uudelleen käsittelyn aikana lääkevalmistekomitea arvioi yhtiön toimittamia tietoja uudelleen. Komitea vahvisti lausuntonsa, jonka mukaan Dropcysin tehoa sarveiskalvon kertymien hoidossa ei ollut osoitettu riittävästi ja että valmisteen koostumukseen sekä lääkkeen pitkäaikaiseen turvallisuuteen ja steriiliyteen liittyi ongelmia, jotka olivat yhä selvittämättä. Näin ollen lääkevalmistekomitea vahvisti aiemman suosituksensa, että lääkkeen myyntilupa olisi evättävä.

## **Mitä seurauksia epäamisestä on potilaille, jotka osallistuvat kliinisiin kokeisiin tai erityiskäyttöohjelmiin?**

Yritys ilmoitti lääkevalmistekomitealle, ettei Dropcysia koskevia kliinisiä kokeita tai erityiskäyttöohjelmia ole käynnissä.