



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1. travnja 2016.
EMA/227275/2016
EMA/H/C/004038

Pitanja i odgovori

Odbijanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Dropcys (merkaptamin hidroklorid)

Ishod ponovnog pregleda

Dana 17. prosinca 2015. Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) donio je negativno mišljenje, uz preporuku za odbijanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Dropcys, koji je namijenjen za sprječavanje i liječenje nagomilavanja aminokiseline cistina u rožnici (prozirni sloj ispred oka). Tvrtka koja je podnijela zahtjev za davanje odobrenja u EU-u je Lucane Pharma.

Podnositelj zahtjeva zatražio je ponovni pregled mišljenja. Nakon razmatranja razloga za ovaj zahtjev, CHMP je ponovno ispitao prvotno mišljenje i potvrdio odbijanje davanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet dana 1. travnja 2016.

Što je Dropcys?

Dropcys je lijek koji sadrži djelatnu tvar merkaptamin hidroklorid (također poznat pod nazivom cisteamin hidroklorid). Trebao je biti dostupan u obliku praška i otapala, za izradu otopina za kapi za oko.

Za što se Dropcys trebao koristiti?

Dropcys se trebao koristiti za sprječavanje i liječenje cistinoze koja pogađa rožnicu. Cistinoza je rijetka nasljedna bolest uzrokovana nakupljanjem tvari koja se zove cistin, koja tvori kristale unutar stanica, posebno stanica u rožnici i bubrezima.

Dropcys je 15. listopada 2014. označen kao lijek za rijetku bolest za liječenje cistinoze. Ovdje možete pronaći dodatne informacije o lijekovima za rijetke bolesti: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.



Lijekovi koji sadrže merkaptamin hidroklorid odobreni su u EU-u za oralnu primjenu u liječenju cistinoze. Oftalmološke formulacije (formulacije za oči) merkaptamina napravljene su za lokalnu uporabu i koriste se za tretiranje simptoma na očima.

Kako je Dropcys trebao djelovati?

Nagomilavanje cistinskih kristala unutar stanica rožnice može oštetiti oči i izazvati ozbiljne probleme s vidom. Očekivalo se da će djelatna tvar u lijeku Dropcys, merkaptamin hidroklorid, reagirati s cistinom tako da ga otopi i da nastanu tvari koje mogu biti uklonjene iz stanice. Očekivalo se da će se količina cistina u stanicama rožnice smanjiti pri primjeni lijeka u oko, što bi ograničilo stupanj oštećenja oka.

Koju je dokumentaciju tvrtka priložila zahtjevu?

Budući da je merkaptamin dugi niz godina korišten za liječenje cistinoze i njegova je uporaba ustaljena, podnositelj zahtjeva iznio je podatke iz medicinske literature koji podupiru njegov zahtjev za Dropcys.

Koji su glavni razlozi za zabrinutost CHMP-a rezultirali odbijanjem?

CHMP je zaključio da su ispitivanja iz medicinske literature priložena kao potpora zahtjevu bila nedostatna. Iako se čini da literatura, postojeće kliničke preporuke i rutinsko korištenje u bolničkim pripravcima u dovoljnoj mjeri podupiru ulogu kapi za oko s merkaptaminom u liječenju taloženja u rožnici, priloženo je malo podataka koji podupiru djelotvornost koncentracije merkaptamina koja se nalazi u lijeku Dropcys (otopina u koncentraciji od 0,1 %). Osim toga, CHMP je bio zabrinut u vezi s ostalim sastojcima lijeka, njihovim utjecajem na dugoročnu sigurnost, osobito kod djece, te u kojoj bi mjeri otopina ostala stabilna i sterilna nakon pripreme.

Stoga je CHMP smatrao da koristi od lijeka Dropcys ne nadmašuju s njime povezane rizike te je preporučio da se odbije davanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Tijekom ponovnog pregleda, CHMP je ponovno pregledao podatke tvrtke. Odbor je potvrdio mišljenje da djelotvornost lijeka Dropcys u liječenju taloženja u rožnici nije dovoljno dokazana i da postoje neriješena pitanja u vezi s formulacijom i dugoročnom sigurnosti i sterilnosti lijeka. Stoga je CHMP potvrdio svoju prethodnu preporuku da se odbije davanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Koje posljedice ovo odbijanje zahtjeva ima za bolesnike u kliničkim ispitivanjima ili u programima milosrdnog davanja lijekova?

Tvrtka je obavijestila CHMP da nema kliničkih ispitivanja ili programa milosrdnog davanja lijeka Dropcys koji su u tijeku.