



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2016 m. balandžio 1 d.

EMA/227275/2016

EMA/H/C/004038

Klausimai ir atsakymai

Atsisakymas suteikti Dropcys (merkaptamino hidrochlorido) rinkodaros leidimą

Pakartotinio nuomonės nagrinėjimo procedūros rezultatai

2015 m. gruodžio 17 d. Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) priėmė neigiamą nuomonę, kurioje rekomenduojama nesuteikti vaistinio preparato Dropcys, skirto aminorūgšties cistino kaupimosi ragenose (akių priekinėje dalyje esančiame skaidriame sluoksnyje) prevencijai ir gydymui, rinkodaros leidimo. Paraišką gauti rinkodaros leidimą ES pateikė bendrovė „Lucane Pharma“.

Pareiškėjas pateikė prašymą pakartotinai išnagrinėti priimtą nuomonę. Apsvarstęs priežastis, kuriomis pagrįstas šis prašymas, CHMP pakartotinai apsvarstė pirminę nuomonę ir 2016 m. balandžio 1 d. patvirtino savo rekomendaciją nesuteikti rinkodaros leidimo.

Kas yra Dropcys?

Dropcys – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos merkaptamino hidrochlorido (dar vadinamo cisteamino hidrochloridu). Jį buvo numatyta tiekti miltelių ir tirpiklio, iš kurių ruošiamas akių lašų tirpalas, forma.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Dropcys?

Dropcys buvo numatyta vartoti siekiant išvengti rageną pažeidžiančios cistinozės ir gydant šią ligą. Cistinozė yra reta paveldima liga, kurią sukelia medžiagos, vadinamos cistinu, kaupimasis; sergant šia liga, ląstelių viduje, ypač ragenos ir inkstų ląstelėse, formuojasi cistino kristalai.

Pagal cistinozės gydymo indikaciją Dropcys 2014 m. spalio 15 d. buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite čia: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).



ES vaistai, kurių sudėtyje yra merkaptamino hidrochlorido, įregistruoti vartoti per burną pagal cistinozės gydymo indikaciją. Oftalminiai (akių) preparatai su merkaptaminu gaminami vietoje ir vartojami akių simptomams malšinti.

Kokio tikėtasi Dropcys veikimo?

Cistino kristalų kaupimasis ragenos ląstelėse gali pakenkti akims ir sukelti sunkių regėjimo sutrikimų. Tikėtasi, kad veiklioji Dropcys medžiaga merkaptamino hidrochloridas sureaguos su cistinu ir jį ištirpina, o susidariusios medžiagos galės pasišalinti iš ląstelių. Tikėtasi, kad vaisto įlašinus į akį, sumažės ragenos ląstelėse esantis cistino kiekis ir taip sumažės akims daroma žala.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Kadangi merkaptaminu cistinozė gydoma daugelį metų ir jo vartojimas yra plačiai pripažįstamas, pareiškėjas kartu su paraiška gauti Dropcys rinkodaros leidimą pateikė duomenis iš medicininės literatūros.

Kokios buvo pagrindinės CHMP abejonės, dėl kurių atsisakyta suteikti rinkodaros leidimą?

CHMP laikėsi nuomonės, kad kartu su paraiška pateiktų medicininėje literatūroje aprašytų tyrimų nepakanka. Nors atrodo, kad literatūroje pateiktų duomenų, dabartinių klinikinės praktikos rekomendacijų ir duomenų apie įprastą šio vaisto naudojimą liginėse ruošiamuose preparatuose pakanka siekiant pagrįsti merkaptamino akių lašų poveikį gydant cistino kaupimąsi ragenose, pateikta pernelyg mažai duomenų, kurie patvirtintų, kad Dropcys esančios koncentracijos merkaptaminas (0,1 proc. tirpalas) yra veiksmingas. Be to, CHMP iškilė abejonė dėl kitų vaisto sudedamųjų dalių, jų poveikio ilgalaikiam saugumui, ypač gydant vaikus, ir dėl paruošto tirpalo stabilumo ir sterilumo.

Todėl CHMP laikėsi nuomonės, kad Dropcys nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo nesuteikti šio vaistinio preparato rinkodaros leidimo.

Pakartotinai nagrinėjant priimtą nuomonę, CHMP dar kartą peržiūrėjo bendrovės pateiktus duomenis. Komitetas patvirtino savo nuomonę, t. y. kad duomenų, patvirtinančių Dropcys veiksmingumą gydant cistino kaupimąsi ragenose, nepakanka ir kad yra neišspręstų klausimų, susijusių su šio vaisto sudėtimi bei ilgalaikiu saugumu ir sterilumu. Taigi, CHMP pakartotinai patvirtino savo ankstesnę rekomendaciją nesuteikti šio vaisto rinkodaros leidimo.

Kokių pasekmių atsisakymas suteikti rinkodaros leidimą turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė pranešė CHMP, kad šiuo metu Dropcys klinikiniai tyrimai ir labdaringo vartojimo programos nevykdomos.