



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2016. gada 1. aprīlī  
EMA/227275/2016  
EMA/H/C/004038

## Jautājumi un atbildes

---

# Dropcys (merkaptoetilamīna hidrogēnhlorīda) reģistrācijas apliecības atteikums

## Atkārtotas pārskatīšanas iznākums

Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) 2015. g. 17. decembrī pieņēma negatīvu atzinumu, iesakot atteikt reģistrācijas apliecības izsniegšanu zālēm *Dropcys*, kas paredzētas, lai novērstu un ārstētu aminoskābes cisteīna uzkrāšanos acs radzenē (acs ārējā apvalka priekšējā, caurspīdīgajā daļā). Uzņēmums, kas iesniedza reģistrācijas pieteikumu Eiropas Savienībā ir „Lucane Pharma”.

Pieteicējs pieprasīja lēmuma pārskatīšanu. Izvērtējusi šīs prasības pamatojumu, CHMP vēlreiz pārbaudīja sākotnējo atzinumu un 2016. gada 1. aprīlī apstiprināja reģistrācijas apliecības izsniegšanas atteikumu.

### Kas ir *Dropcys*?

*Dropcys* ir zāles, kas satur aktīvo vielu merkaptoetilamīna hidrogēnhlorīdu (sauktu arī par cisteamīna hidrogēnhlorīdu). Bija paredzēts, ka tās būs pieejamas kā pulveris un šķīdinātājs acu pilienu šķīduma pagatavošanai.

### Kādam nolūkam bija paredzēts lietot *Dropcys*?

*Dropcys* bija paredzēts lietot cistinozes profilaksei un ārstēšanai, kas skar radzeni. Cistinoze ir reta iedzimta slimība, ko izraisa tā dēvētās cisteīna vielas uzkrāšanās, kas veido šūnās kristālus, īpaši radzenes un nieru šūnās.

2014. gada 15. oktobrī *Dropcys* atzina par zālēm retu slimību ārstēšanai, ko lieto cistinozes ārstēšanā. Plašāka informācija par zāļu apzīmējumu reti sastopamu slimību ārstēšanai ir pieejama šeit: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).



Zāles, kas satur merkaptamīna hidrohlorīdu, ir reģistrētas Eiropas Savienības (ES) dalībvalstīs iekšķīgai lietošanai cistinozes ārstēšanā. Merkaptamīna oftalmoloģijas (acu) zāļu formas izgatavo uz vietas, ko lieto simptomu novēršanai.

## **Kāda ir paredzamā *Dropcys* iedarbība?**

Cisteīna kristālu uzkrāšanās radzenes šūnās var radīt acu bojājumus un izraisīt nopietnus redzes traucējumus. Bija paredzēts, ka *Dropcys* sastāvā esošā aktīvā viela merkaptamīna hidrohlorīds reaģēs ar cisteīnu, lai to šķīdinātu un veidotu vielas, kuras var izvadīt no šūnām. Tāpat bija paredzēts, ka pēc zāļu iepilināšanas acīs cisteīna daudzums radzenes šūnās tiks samazināts, ierobežojot acu bojājumu apmēru.

## **Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?**

Tā kā merkaptamīnu izmanto jau vairākus gadus cistinozes ārstēšanā un tā lietošana ir vispāratzīta, pieteikuma iesniedzējs *Dropcys* pieteikuma pamatošanai iesniedza datus no medicīnas literatūras.

## **Kādas bija *CHMP* galvenās bažas, kuru dēļ tika pieņemts atteikums?**

*CHMP* uzskatīja, ka pētījumu dati, kas tika iesniegti no medicīnas literatūras pieteikuma pamatošanai, bija nepietiekami. Kaut arī literatūrā rodas merkaptamīna acu pilienu nozīmes pamatojums radzenes nogulšņu ārstēšanā, dati pašreizējos klīniskajos ieteikumos un slimnīcās izmantoto zāļu formās, kas pamato *Dropcys* izmantotā merkaptamīna koncentrācijas efektivitāti (0,1% šķīdums), nebija pietiekami. Turklāt *CHMP* bija bažas par citām šo zāļu sastāvā esošajām sastāvdaļām, to ietekmi uz lietošanas drošību ilgtermiņā, jo īpaši pediatrijas grupā, un cik stabils un sterils var būt šķīdums pēc tā pagatavošanas.

Tādēļ *CHMP* uzskatīja, ka pacientu ieguvums, lietojot *Dropcys*, nepārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica neizsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību.

Atkārtotas izvērtēšanas laikā *CHMP* vēlreiz aplūkoja uzņēmuma iesniegtos datus. Komiteja apstiprināja atzinumu, ka *Dropcys* efektivitāte radzenes nogulšņu ārstēšanā nebija pietiekami pierādīta, un ka pastāvēja neatrisināti jautājumi par zāļu formu, lietošanas drošību ilgtermiņā un zāļu sterilitāti. Tādēļ *CHMP* atkārtoti apstiprināja savu iepriekšējo ieteikumu neizsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību.

## **Kādas sekas šis atteikums rada pacientiem, kuri piedalās klīniskos pētījumos vai zāļu līdzcietīgas lietošanas programmās?**

Uzņēmums informēja *CHMP*, ka pašlaik netiek veikti *Dropcys* klīniskie pētījumi vai zāļu līdzcietīgas lietošanas programmas.