



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1 april 2016
EMA/227275/2016
EMA/H/C/004038

Vragen en antwoorden

Weigering van de vergunning voor het in de handel brengen van Dropcys (mercaptaminehydrochloride)

Uitkomst van heroverweging

Op 17 december 2015 bracht het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) een negatief advies uit, met een aanbeveling tot weigering van de vergunning voor het in de handel brengen van het geneesmiddel Dropcys, bedoeld voor preventie en behandeling van de ophoping van het aminozuur cystine in de cornea (het hoornvlies, de doorzichtige laag aan de voorzijde van het oog). De firma die de aanvraag in de EU indiende, is Lucane Pharma.

De aanvrager heeft een verzoek gedaan tot heroverweging van het advies. Na de redenen voor dit verzoek te hebben overwogen, onderzocht het CHMP het oorspronkelijke advies opnieuw en bevestigde op 1 april 2016 de aanbeveling tot weigering van de handelsvergunning.

Wat is Dropcys?

Dropcys is een geneesmiddel dat de werkzame stof mercaptaminehydrochloride (ook bekend als cysteaminehydrochloride) bevat. Het had op de markt moeten komen als poeder en oplosmiddel voor een oplossing voor oogdruppels.

Voor welke behandeling was Dropcys bedoeld?

Dropcys was bedoeld voor de preventie en behandeling van cystinose met aantasting van de cornea. Cystinose is een zeldzame erfelijke ziekte veroorzaakt door de ophoping van een stof genaamd cystine, die kristallen vormt in cellen, met name cellen in de cornea en de nieren.

Dropcys werd op 15 oktober 2014 voor de behandeling van cystinose aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is hier te vinden: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations.



Geneesmiddelen die mercaptaminehydrochloride bevatten, zijn in de EU goedgekeurd voor gebruik via de mond bij de behandeling van cystinose. Oftalmologische formuleringen (formuleringen voor gebruik in het oog) van mercaptamine worden lokaal vervaardigd en gebruikt voor de behandeling van oogsymptomen.

Hoe werd verwacht dat Dropcys zou werken?

De ophoping van cystinekristallen in cellen van de cornea kan de ogen beschadigen en ernstige problemen met het gezichtsvermogen veroorzaken. Verwacht werd dat de werkzame stof in Dropcys, mercaptaminehydrochloride, een reactie zou aangaan met cystine waardoor dit zou oplossen en stoffen zou vormen die uit de cellen zouden kunnen worden verwijderd. Wanneer het geneesmiddel in het oog wordt gedruppeld, zou de hoeveelheid cystine in de cellen van de cornea naar verwachting afnemen, met als gevolg dat de ogen minder beschadigd zouden raken.

Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

Omdat mercaptamine al jarenlang wordt gebruikt voor de behandeling van cystinose en het gebruik ervan algemeen is erkend, presenteerde de aanvrager gegevens uit de medische literatuur ter ondersteuning van zijn aanvraag voor Dropcys.

Wat waren de grootste problemen die geleid hebben tot weigering van de vergunning voor het in de handel brengen?

Het CHMP oordeelde dat de studies uit de medische literatuur die ter ondersteuning van de aanvraag werden overgelegd, ontoereikend waren. Hoewel de rol van oogdruppels met mercaptamine bij de behandeling van cornea-afzettingen voldoende lijkt te worden ondersteund door de literatuur, de huidige klinische aanbevelingen en het standaardgebruik van de stof in ziekenhuispreparaten waren er weinig gegevens die de doeltreffendheid van de concentratie mercaptamine in Dropcys (0,1% oplossing) ondersteunden. Daarnaast bestonden er bij het CHMP bedenkingen over andere bestanddelen van het geneesmiddel, hun invloed op de langetermijnveiligheid, met name bij kinderen, en over de stabiliteit en steriliteit van de oplossing na bereiding.

Daarom was het CHMP van mening dat de voordelen van Dropcys niet opwogen tegen de risico's ervan en adviseerde het de handelsvergunning te weigeren.

Tijdens de heroverweging bekeek het CHMP opnieuw de gegevens van de firma. Het Comité bevestigde het advies dat de doeltreffendheid van Dropcys bij de behandeling van cornea-afzettingen niet voldoende was aangetoond en dat er nog onopgeloste kwesties waren betreffende de formulering en de langetermijnveiligheid en steriliteit van het geneesmiddel. Het CHMP herbevestigde dan ook zijn eerdere aanbeveling om aan het geneesmiddel geen handelsvergunning te verlenen.

Welke gevolgen heeft de weigering voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven of die het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?

De firma informeerde het CHMP dat er momenteel geen studies met Dropcys worden uitgevoerd of dat het middel wordt verstrekt met speciale toestemming.