



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1 kwietnia 2016 r.
EMA/227275/2016
EMA/H/C/004038

Pytania i odpowiedzi

Odmowa przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu Dropcys (chlorowodorek merkaptaminy)

Wynik ponownej oceny

W dniu 17 grudnia 2015 r. Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) wydał negatywną opinię, zalecając odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu leczniczego Dropcys do obrotu, przeznaczonego do profilaktyki i leczenia gromadzenia aminokwasu cystyny w rogówce (przezroczystej warstwie z przodu oka). Firmą ubiegającą się o przyznanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE jest Lucane Pharma.

Wnioskodawca zwrócił się o ponowne rozpatrzenie opinii. Po rozważeniu podstaw tego wniosku CHMP ponownie rozpatrzył wstępną opinię i w dniu 1 kwietnia 2016 r. potwierdził odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Co to jest Dropcys?

Dropcys to lek zawierający substancję czynną chlorowodorek merkaptaminy (zwany również chlorowodorkiem cysteaminy). Miał być dostępny jako proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu kropli do oczu.

W jakim celu miał być stosowany produkt Dropcys?

Dropcys miał być stosowany w profilaktyce i leczeniu cystynozy rogówki. Cystinoza jest rzadką dziedziczną chorobą powodowaną przez gromadzenie się substancji zwanej cystyną, która tworzy kryształy w komórkach, zwłaszcza komórkach rogówki i nerek.

W dniu 15 października 2014 r. lek Dropcys uznano za „lek sierocy” (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu cystynozy. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć tutaj: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).



Leki zawierające chlorowodorek merkaptaminy są dopuszczone w UE do stosowania doustnego w leczeniu cystynozy. Okulistyczne (stosowane do oczu) preparaty merkaptaminy są sporządzane lokalnie i stosowane w leczeniu objawów ze strony oczu.

Jakie było oczekiwane działanie produktu Dropcys?

Odkładanie się kryształów cystyny w komórkach rogówki może doprowadzić do uszkodzenia oczu i powodować poważne problemy z widzeniem. Oczekiwano, że substancja czynna leku Dropcys, chlorowodorek merkaptaminy, będzie reagować z cystyną, rozpuszczając ją i tworząc substancję, które będzie można usunąć z komórek. Oczekiwano, że gdy lek będzie podawany do oka, ilość cystyny w komórkach rogówki zmniejszy się, co zmniejszy stopień uszkodzenia oka.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku?

Ponieważ merkaptamina jest stosowana w leczeniu cystynozy od wielu lat i jej stosowanie jest dobrze ugruntowane, wnioskodawca przedstawił dane z piśmiennictwa medycznego na poparcie wniosku dotyczącego produktu Dropcys.

Jakie były główne wątpliwości CHMP, które doprowadziły do odmowy?

CHMP uznał, że badania z piśmiennictwa medycznego przedstawione na poparcie wniosku są niewystarczające. Chociaż rola kropli do oczu zawierających merkaptaminę w leczeniu złogów rogówkowych wydaje się wystarczająco poparta przez literaturę, aktualne zalecenia kliniczne i jej rutynowe stosowanie w preparatach szpitalnych, istniało niewiele danych dowodzących skuteczności stężenia merkaptaminy stosowanego w leku Dropcys (0,1% roztwór). Dodatkowo CHMP miał wątpliwości dotyczące pozostałych składników leku, ich wpływu na bezpieczeństwo w długim okresie, zwłaszcza u dzieci, oraz stabilności i jałowości roztworu po sporządzeniu.

W związku z tym CHMP wyraził opinię, że korzyści ze stosowania leku Dropcys nie przewyższają ryzyka, i zalecił odmowę wydania pozwolenia na dopuszczenie tego leku do obrotu.

W trakcie ponownej oceny CHMP ponownie przeanalizował dane od firmy. Komitet potwierdził opinię, że skuteczność stosowania produktu Dropcys w leczeniu złogów rogówkowych nie została wystarczająco udowodniona i że istnieją nierozwiązane problemy dotyczące formulacji leku oraz jego bezpieczeństwa i jałowości w długim okresie. Z tego względu CHMP ponownie potwierdził swoje wcześniejsze zalecenie odmowy przyznania pozwolenia na dopuszczenie leku do obrotu.

Jakie są skutki tej odmowy dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?

Firma poinformowała CHMP, że nie trwają żadne badania kliniczne ani programy „leczenia ostatniej szansy” z użyciem produktu Dropcys.