



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1 de abril de 2016  
**EMA/227275/2016**  
EMA/H/C/004038

## Perguntas e respostas

---

# Recusa da Autorização de Introdução no Mercado para Dropcys (cloridrato de mercaptamina)

## Resultado do reexame

Em 17 de dezembro de 2015, o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) adotou um parecer negativo, recomendando a recusa da Autorização de Introdução no Mercado para o medicamento Dropcys, destinado à prevenção e ao tratamento da acumulação do aminoácido cistina na córnea (a camada transparente na parte da frente do olho). A empresa que pediu a autorização na União Europeia (UE) é a Lucane Pharma.

O requerente solicitou um reexame do parecer. Após avaliar os fundamentos do pedido, o CHMP reexaminou o parecer inicial e, em 1 de abril de 2016, confirmou a recusa da Autorização de Introdução no Mercado.

## O que é o Dropcys?

O Dropcys é um medicamento que contém a substância ativa cloridrato de mercaptamina (também conhecida por cloridrato de cisteamina). Iria ser disponibilizado na forma de um pó e um solvente para preparação de uma solução de gotas oftálmicas (colírio).

## Qual a utilização prevista para o Dropcys?

O Dropcys destinava-se a ser utilizado na prevenção e no tratamento das cistinoses que afetam a córnea. A cistinose é uma doença hereditária rara causada pela acumulação de uma substância designada cistina, que forma cristais no interior das células, em particular nas células da córnea e dos rins.

O Dropcys foi designado «medicamento órfão» (medicamento utilizado em doenças raras) em 15 de outubro de 2014 para o tratamento da cistinose. Pode obter informações adicionais sobre a designação de medicamento órfão aqui: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).



Os medicamentos que contêm cloridrato de mercaptamina estão autorizados na UE para uso por via oral no tratamento da cistinose. As formulações oftálmicas (para os olhos) de mercaptamina são preparadas no local e utilizadas no tratamento dos sintomas oculares.

### **Como deveria funcionar o Dropcys?**

A acumulação de cristais de cistina no interior das células da córnea pode danificar os olhos e causar problemas de visão graves. A substância ativa do Dropcys, o cloridrato de mercaptamina, deveria reagir com a cistina dissolvendo-a e formando substâncias que pudessem ser removidas das células. Estava previsto que, quando o medicamento fosse aplicado no olho, a quantidade de cistina nas células da córnea fosse reduzida, limitando o grau de danos oculares.

### **Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?**

Dado que a mercaptamina é utilizada há vários anos no tratamento da cistinose e que o seu uso se encontra bem estabelecido, o requerente apresentou dados da literatura médica para suportar o seu pedido para Dropcys.

### **Quais foram as principais preocupações do CHMP que levaram à recusa?**

O CHMP considerou que os estudos da literatura médica apresentados para suportar o pedido eram insuficientes. Embora o papel do colírio de mercaptamina no tratamento de depósitos na córnea pareça estar suficientemente sustentado pela literatura, pelas atuais recomendações clínicas e pelo seu uso rotineiro em preparações hospitalares, existiam poucos dados que sustentassem a eficácia da concentração de mercaptamina utilizada no Dropcys (solução a 0,1 %). Além disso, o CHMP tinha preocupações relativamente a outros componentes do medicamento, ao seu impacto na segurança a longo prazo, particularmente em crianças, e a quão estável e estéril seria a solução uma vez preparada.

Por conseguinte, o CHMP considerou que os benefícios do Dropcys não eram superiores aos seus riscos e recomendou a recusa da Autorização de Introdução no Mercado.

Durante o reexame, o CHMP analisou de novo os dados apresentados pela empresa. O Comité confirmou o parecer de que a eficácia do Dropcys no tratamento de depósitos na córnea não tinha sido suficientemente demonstrada e de que existiam questões por resolver relativamente à formulação e segurança a longo prazo e à esterilidade do medicamento. Deste modo, o CHMP reafirmou a sua recomendação anterior de que seja recusada a Autorização de Introdução no Mercado para o medicamento.

### **Quais as consequências desta recusa para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou programas de uso compassivo?**

A empresa informou o CHMP de que não existem ensaios clínicos ou programas de uso compassivo em curso com o Dropcys.