



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Vprašanja in odgovori

---

# Zavrnitev dovoljenja za promet z zdravilom Dropcys (merkaptaminijev hidroklorid)

## Izid ponovnega pregleda

Dne 17. decembra 2015 je Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) sprejel negativno mnenje in priporočil zavrnitev dovoljenja za promet z zdravilom Dropcys, namenjenim preprečevanju in zdravljenju kopičenja aminokislina v roženici (prozorne plasti na prednji strani očesa). Družba, ki je zaprosila za dovoljenje v EU, je Lucane Pharma.

Vlagatelj je zahteval ponovni pregled mnenja. Po proučitvi razlogov za to zahtevo je odbor CHMP ponovno pregledal prvotno mnenje in dne 1. aprila 2016 potrdil zavrnitev vloge za dovoljenje za promet.

## Kaj je zdravilo Dropcys?

Dropcys je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino merkaptaminijev hidroklorid (znan tudi kot cisteaminijev hidroklorid). Bilo je na voljo v obliki praška in vehikla za pripravo kapljic za oko.

## Za kaj naj bi se zdravilo Dropcys uporabljalo?

Zdravilo Dropcys naj bi se uporabljalo za preprečevanje in zdravljenje cistinoze v roženici. Cistinoza je redka dedna bolezen, ki nastane kot posledica kopičenja snovi, imenovane cistin, ki tvori kristale v celicah, zlasti v celicah roženice in ledvic.

Zdravilo Dropcys je bilo dne 15. oktobra 2014 določeno kot »zdravilo sirota« (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje cistinoze. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo tukaj: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Zdravila, ki vsebujejo merkaptaminijev klorid so dovoljena v EU za peroralno uporabo pri zdravljenju cistinoze. Formulacije merkaptamina za oko se pripravljajo lokalno in se uporabljajo za zdravljenje očesnih simptomov.



## **Kako naj bi zdravilo Dropcys delovalo?**

Kopičenje kristalov cistina v celicah roženice lahko poškoduje oči in povzroči hude težave z vidom. Zdravilna učinkovina v zdravilu Dropcys, merkaptaminijev klorid, naj bi reagirala s cistinom, ga raztopila in tvorila snovi, ki se lahko odstranijo iz celic. Pričakovati je bilo, da se bo po vkapanju zdravila v oko količina cistina v celicah roženice zmanjšala in s tem omejila obseg poškodb očesa.

## **Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?**

Ker se merkaptamin uporablja že vrsto let za zdravljenje cistinoze in je njegova uporaba dobro uveljavljena, je predlagatelj v podporo svoji vlogi za zdravilo Dropcys predstavil podatke iz medicinske literature.

## **Kateri so bili glavni zadržki, zaradi katerih je odbor CHMP predlagal zavrnitev dovoljenja za promet?**

Odbor CHMP je menil, da so študije iz medicinske literature, predstavljene v podporo vlogi, nezadostne. Čeprav vlogo merkaptamina v obliki kapljic za oči pri zdravljenju oblog roženice v zadostni meri podpira literatura, trenutna klinična priporočila in rutinska uporaba bolnišničnih pripravkov, je malo podatkov, ki podpirajo učinkovitost koncentracije merkaptamina, uporabljene v zdravilu Dropcys (0,1 % raztopina). Poleg tega je imel odbor CHMP zadržke glede drugih sestavin zdravila, njihovega učinka na varnost pri dolgoročni uporabi, zlasti pri otrocih, ter stabilnosti in sterilnosti raztopine po pripravi.

Posledično je odbor CHMP tedaj menil, da koristi zdravila Dropcys ne odtehtajo z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se dovoljenje za promet z njim zavrne.

Odbor CHMP je pri ponovnem pregledu spet pregledal podatke družbe. Odbor je potrdil mnenje, da učinkovitost zdravila Dropcys pri zdravljenju depozitov v roženici ni bila zadostno dokazana in da obstajajo nerešena vprašanja v zvezi s formulacijo, varnostjo pri dolgoročni uporabi in sterilnostjo zdravila. Tako je odbor CHMP potrdil svoje prejšnje priporočilo, da se dovoljenje za promet z njim zavrne.

## **Kakšne so posledice zavrnitve za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe?**

Družba je odbor CHMP obvestila, da trenutno ne potekajo klinična preskušanja ali programi sočutne uporabe zdravila Dropcys.