



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27 април 2018 г.  
EMA/258015/2018  
EMA/H/C/004150

## Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Prohippur (натриев бензоат)

На 3 април 2018 г. Lucane Pharma официално уведомява Комитета по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP), че желае да оттегли заявлението си за разрешаване за употреба на Prohippur, показан за лечение на некототична хиперглицинемия и нарушения в урейния цикъл.

### Какво представлява Prohippur?

Prohippur е лекарство, което съдържа активното вещество натриев бензоат (sodium benzoate). То е следвало да се предлага под формата на гранули.

### За какво се очаква да се използва Prohippur?

Prohippur се очаква да се използва за лечение на следните наследствени нарушения:

- некототична хиперглицинемия, при която в кръвта се появяват необичайно високи нива на аминокиселината глицин.
- нарушения в урейния цикъл, група заболявания, при които в организма се появяват необичайно високи нива на азот под формата на амоняк.

Във високи количества както глицинът, така и амонякът са вредни и могат да причинят тежко мозъчно увреждане. Заболяванията се причиняват от липса на ензими, необходими за отстраняването им.

Prohippur е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) за некототична хиперглицинемия, на 11 септември 2002 г., и за нарушения в урейния цикъл, на 14 юли 2016 г., 29 август 2016 г. и 18 ноември 2016 г. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите [ТУК](#).



## **Как действа Prohippur?**

Активното вещество в Prohippur, натриев бензоат, помага за намаляване на вредните нива на глицина, като се прикрепва към него и образува вещество, което по-лесно се елиминира от бъбреците. Prohippur също помага за отстраняване на излишния азот от организма, като по този начин намалява нивата на амоняка.

## **Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?**

Фирмата е представила данни от публикувани проучвания за употребата на натриев бензоат при пациенти с некототична хиперглицинемия и нарушения в урейния цикъл. Prohippur не е проучван непосредствено при пациенти с тези заболявания.

## **На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?**

Заявлението е оттеглено, след като CHMP е оценил документацията, представена от фирмата, и е изготвил списък с въпроси. Към момента на оттеглянето фирмата все още не е отговорила на последната група въпроси.

## **Какви са препоръките на CHMP към момента на оттеглянето?**

Към момента на оттеглянето CHMP има известни опасения. CHMP отбелязва, че подадените от фирмата публикувани проучвания не предоставят достатъчно доказателства за ефективността и безопасността на натриевия бензоат при различните заболявания. Освен това, тъй като Prohippur не е използван в клинични изпитвания, фирмата е трябвало да предостави данни, които да покажат, че Prohippur гранули действат по същия начин както натриевия бензоат, използван в публикуваните проучвания. Накрая, CHMP има въпроси относно високите нива на вещество в Prohippur (бутилиран метакрилатен съполимер), начина на приложение и контрола на качеството на лекарството като цяло.

Поради това, към момента на оттеглянето становището на CHMP е, че ползите от Prohippur не превишават рисковете.

## **Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?**

В писмото, с което фирмата уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, се посочва, че фирмата се нуждае от повече време, за да подготви адекватни отговори на въпросите, повдигнати от CHMP.

Писмото за оттеглянето може да се намери [ТУК](#).

## **Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?**

Фирмата е уведомила CHMP, че няма текущи клинични изпитвания с Prohippur и одобрената във Франция програма с милосърдна цел ще продължи, както е планирано.

Ако участвате в програма с милосърдна цел и се нуждаете от повече информация за вашето лечение, свържете се с лекаря, който ви го е предписал.