



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27. dubna 2018
EMA/258015/2018
EMA/H/C/004150

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Prohippur (natrium-benzoát)

Dne 3. dubna 2018 společnost Lucane Pharma oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Prohippur určeného k léčbě neketotické hyperglycinemie a poruch cyklu močoviny.

Co je Prohippur?

Prohippur je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku natrium-benzoát. Měl být k dispozici ve formě granulí.

K čemu měl být přípravek Prohippur používán?

Přípravek Prohippur se měl používat k léčbě těchto dědičných onemocnění:

- neketotická hyperglycinemie, kdy se v krvi vyskytují abnormálně vysoké hladiny aminokyseliny glycinu,
- poruchy cyklu močoviny, což je skupina onemocnění, kdy se v těle vyskytují abnormálně vysoké hladiny dusíku ve formě amoniaku.

Jak glycin, tak amoniak jsou ve velkém množství škodlivé a mohou způsobit závažné poškození mozku. Tato onemocnění jsou způsobena nedostatkem enzymů potřebných k jejich odstranění.

Přípravek Prohippur byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“, a to k léčbě neketotické hyperglycinemie dne 11. září 2002 a k léčbě poruch cyklu močoviny dne 14. července 2016, 29. srpna 2016 a 18. listopadu 2016. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete [zde](#).



Jak přípravek Prohippur působí?

Léčivá látka v přípravku Prohippur, natrium-benzoát, pomáhá snižovat škodlivé hladiny glycinu tím, že se naváže na glycin a vytvoří látku, kterou jsou ledviny schopné z těla snadněji odstranit. Přípravek Prohippur rovněž pomáhá odstraňovat nadbytek dusíku z těla, čímž snižuje hladinu amoniaku.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila údaje z publikovaných studií o použití natrium-benzoátu u pacientů s neketotickou hyperglycemií a poruchami cyklu močoviny. Přípravek Prohippur nebyl zkoumán přímo u pacientů s těmito onemocněními.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Žádost byla stažena poté, co výbor CHMP posoudil dokumentaci předloženou společností a vypracoval seznamy otázek. V době stažení žádosti nebyla poslední sada otázek společností ještě zodpovězena.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

V době stažení žádosti měl výbor CHMP určité pochybnosti. Výbor CHMP konstatoval, že publikované studie předložené společností neposkytly dostatečné důkazy o účinnosti a bezpečnosti natrium-benzoátu u různých onemocnění. Navíc vzhledem k tomu, že přípravek Prohippur nebyl použit v klinických studiích, měla společnost poskytnout údaje prokazující, že granule přípravku Prohippur působí stejně jako natrium-benzoát použitý v publikovaných studiích. Výbor CHMP měl také otázky týkající se vysokých hladin látky v přípravku Prohippur (kopolymeru butylovaného methakrylátu), způsobu podání a kontroly kvality léčivého přípravku obecně.

Výbor CHMP proto v době stažení žádosti zastával názor, že přínosy přípravku Prohippur nepřevyšují jeho rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém dopise, v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že potřebuje více času na přípravu adekvátních odpovědí na otázky vznesené výborem CHMP.

Tento dopis je k dispozici [zde](#).

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Prohippur podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala výbor CHMP, že v současné době neprobíhají žádné klinické studie s přípravkem Prohippur a že program, v němž je přípravek Prohippur podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, schválený ve Francii, bude pokračovat podle plánu.

Pokud jste zařazení do programu, v němž je přípravek Prohippur podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na lékaře, který vám přípravek podává.