



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Prohippur (natriumbenzoat)

Den 3. april 2018 meddelte Lucane Pharma officielt Udvalget for Lægemidler til Mennesker (CHMP), at virksomheden ønsker at tilbagetrække sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Prohippur til behandling af ikke-ketotisk hyperglycinæmi og defekt urinstofcyklus.

Hvad er Prohippur?

Prohippur er et lægemiddel, der indeholder det aktive stof natriumbenzoat. Det skulle markedsføres som granulat.

Hvad forventedes Prohippur anvendt til?

Prohippur skulle anvendes til behandling af følgende arvelige sygdomme:

- ikke-ketotisk hyperglycinæmi, hvor der ses unormalt høje niveauer af aminosyren glycin i blodet.
- defekt urinstofcyklus, der er en gruppe tilstande, hvor der ses unormalt høje niveauer af nitrogen i kroppen i form af ammoniak.

Både glycin og ammoniak er skadelige i store mængder og kan forårsage alvorlig hjerneskade. Sygdommene skyldes en mangel på enzymer, der er nødvendige for at fjerne stofferne.

Prohippur blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" mod ikke-ketotisk hyperglycinæmi den 11. september 2002 og mod defekt urinstofcyklus den 14. juli 2016, 29. august 2016 og 18. november 2016. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes [her](#)

Hvordan virker Prohippur?

Det aktive stof i Prohippur, natriumbenzoat, hjælper med at reducere de skadelige niveauer af glycin ved at binde til glycin og danne et stof, der lettere udskilles af nyrerne. Prohippur hjælper også med at fjerne det overskydende nitrogen fra kroppen, hvorved niveauet af ammoniak sænkes.



Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden til støtte for sin ansøgning?

Virksomheden fremlagde data fra offentliggjorte undersøgelser om anvendelse af natriumbenzoat hos patienter med ikke-ketotisk hyperglycinæmi og defekt urincyklus. Prohippur er ikke undersøgt direkte hos patienter med disse sygdomme.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at CHMP havde vurderet den dokumentation, som virksomheden havde fremlagt, og udarbejdet en liste med spørgsmål. Virksomheden havde endnu ikke besvaret den sidste række spørgsmål, da ansøgningen blev trukket tilbage.

Hvad anbefalede CHMP på det pågældende tidspunkt?

På tidspunktet for tilbagetrækningen havde CHMP visse betænkeligheder. CHMP bemærkede, at de offentliggjorte undersøgelser, som virksomheden havde fremlagt, ikke var tilstrækkelig dokumentation for effekten og sikkerheden ved natriumbenzoat til behandling af de nævnte sygdomme. Da Prohippur ikke var blevet anvendt i kliniske undersøgelser, burde virksomheden desuden have fremlagt data til påvisning af, at Prohippur-granulatet virker på samme måde som det natriumbenzoat, der blev anvendt i de offentliggjorte undersøgelser. Endelig havde CHMP spørgsmål til det høje indhold af et bestemt stof i Prohippur (butyleret methacrylatcopolymer), indgivelsesmåden og kvalitetskontrollen af lægemidlet generelt.

Derfor var CHMP på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at fordelene ved Prohippur ikke opvejede risiciene.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit brev til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den havde brug for mere tid til at besvare de spørgsmål, som CHMP havde stillet.

Brevet om tilbagetrækningen kan ses [her](#)

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har oplyst til CHMP, at der for tiden ikke gennemføres kliniske undersøgelser af Prohippur, og at et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse, der er tilladt i Frankrig, vil blive gennemført som planlagt.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.