



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27 de abril de 2018
EMA/258015/2018
EMA/H/C/004150

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Prohippur (benzoato sódico)

El 3 de abril de 2018, Lucane Pharma notificó oficialmente al Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) que deseaba retirar su solicitud de autorización de comercialización de Prohippur para el tratamiento de la hiperglicinemia no cetósica y los trastornos del ciclo de la urea.

¿Qué es Prohippur?

Prohippur es un medicamento que contiene el principio activo benzoato sódico. Iba a presentarse en forma de granulado.

¿A qué uso estaba destinado Prohippur?

Prohippur iba a utilizarse para tratar los siguientes trastornos hereditarios:

- Hiperglicinemia no cetósica, en la que se producen concentraciones anormalmente altas del aminoácido glicina en la sangre.
- Trastornos del ciclo de la urea, un grupo de enfermedades en las que se acumulan en el organismo niveles anormalmente altos de nitrógeno en forma de amoníaco.

Tanto la glicina como el amoníaco son perjudiciales en cantidades elevadas y pueden causar lesiones cerebrales graves. Los trastornos están provocados por la falta de las enzimas necesarias para eliminar estas sustancias.

Prohippur fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 11 de septiembre de 2002 para la hiperglicinemia no cetósica y el 14 de julio de 2016, el 29 de agosto de 2016 y el 18 de noviembre de 2016 para los trastornos del ciclo de la urea. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano [aquí](#).



¿Cómo actúa Prohippur?

El principio activo de Prohippur, el benzoato sódico, ayuda a reducir los niveles perjudiciales de glicina al unirse a la glicina y formar una sustancia que es eliminada con más facilidad por los riñones. Prohippur también ayuda a eliminar el exceso de nitrógeno del organismo, reduciendo así los niveles de amoníaco.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

La empresa presentó datos de los estudios publicados sobre el uso del benzoato sódico en pacientes con hiperglicinemia no cetósica y trastornos del ciclo de la urea. Prohippur no se ha estudiado directamente en pacientes con estas enfermedades.

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La solicitud fue retirada después de que el CHMP hubiera evaluado la documentación presentada por la empresa y formulado listas de preguntas. La empresa no había respondido a la última serie de preguntas en el momento de la retirada.

¿Qué recomendaba el CHMP en ese momento?

En el momento de la retirada, el CHMP tenía reservas. El CHMP señaló que los estudios publicados presentados por la empresa no aportaban pruebas suficientes de la eficacia y la seguridad del benzoato sódico en los diferentes trastornos. Además, como Prohippur no se utilizó en ensayos clínicos, la empresa debería haber presentado datos que demuestren que Prohippur granulado actúa de la misma forma que el benzoato sódico utilizado en los estudios publicados. Por último, el CHMP tenía preguntas sobre los niveles elevados de una sustancia de Prohippur (copolímero de metacrilato butilado), la forma de administración y el control de calidad del medicamento en general.

Por consiguiente, en el momento de la retirada, el CHMP estimaba que los beneficios de Prohippur no superaban a los riesgos.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

En el escrito en el que notificaba a la Agencia la retirada de su solicitud, la empresa declaró que necesitaba más tiempo para preparar respuestas adecuadas a las preguntas planteadas por el CHMP.

El escrito de retirada puede encontrarse [aquí](#).

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?

La empresa informó al CHMP de que no hay ningún ensayo clínico en curso con Prohippur y de que el programa de uso compasivo aprobado en Francia continuará según lo previsto.

Si participa usted en un programa de uso compasivo y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con el médico que le administra el medicamento.