



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Prohippuria (natriumbentsoatti) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Lucane Pharma ilmoitti 3. huhtikuuta 2018 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa ei-ketoottisen hyperglysinemian ja ureakiertotautien hoitoon tarkoitettua Prohippur-lääkevalmistettä koskevan myyntilupahakemuksensa.

Mitä Prohippur on?

Prohippur on lääkevalmiste, jonka vaikuttava aine on natriumbentsoatti. Lääkevalmistettä oli tarkoitus saada rakeina.

Mihin Prohippur-valmistettä oli tarkoitus käyttää?

Prohippur-valmistettä oli tarkoitus käyttää seuraavien perinnöllisten sairauksien hoitoon:

- ei-ketoottinen hyperglysinemia, jossa aminohappo glysiinin pitoisuus veressä on poikkeavan suuri
- ureakiertotaudit eli ryhmä sairauksia, joissa elimistössä esiintyy poikkeavan suuria typpipitoisuuksia ammoniakkin muodossa.

Sekä glysiini että ammoniakki ovat haitallisia suurina määrinä, ja ne voivat aiheuttaa vaikean aivovaurion. Kyseiset sairaudet johtuvat näitä aineita poistavien entsyymien puutteesta.

Prohippur nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 11. syyskuuta 2002 ei-ketoottisen hyperglysinemian hoitoa varten ja 14. heinäkuuta 2016, 29. elokuuta 2016 ja 18. marraskuuta 2016 ureakiertotauteja varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [tässä](#).

Miten Prohippur vaikuttaa?

Prohippurin vaikuttava aine natriumbentsoatti auttaa vähentämään haitallisia glysiinipitoisuuksia kiinnittymällä glysiiniin ja muodostamalla ainetta, joka poistuu helpommin munuaisten kautta. Prohippur auttaa myös poistamaan liiallista typeä elimistöstä, mikä siten vähentää ammoniakkipitoisuuksia.



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tiedot julkaistuista tutkimuksista, jotka koskivat natriumbentsoaatin käyttöä ei-ketoottista hyperglysinemiaa ja ureakiertotauteja sairastavien potilaiden hoidossa. Prohippuria ei tutkittu suoraan näitä tauteja sairastavilla potilailla.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön toimittamat asiakirjat ja laatinut luettelon kysymyksistä. Yhtiö ei ollut vastannut viimeisiin kysymyksiin, kun hakemus peruutettiin.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Lääkevalmistekomitealla oli joitakin huolenaiheita, kun hakemus peruutettiin. Lääkevalmistekomitea katsoi, että yhtiön toimittamat julkaistut tutkimukset olivat riittämättömiä osoittamaan natriumbentsoaatin tehon ja turvallisuuden erilaisten tautien hoidossa. Koska Prohippuria ei ollut käytetty kliinisissä tutkimuksissa, yhtiön olisi myös pitänyt näyttää näyttöä siitä, että Prohippurirakeet tehoavat samalla tavoin kuin julkaistuissa tutkimuksissa käytetty natriumbentsoaatti. Lisäksi lääkevalmistekomitealla oli kysymyksiä erään aineen (butyloitu metakrylaattikopolymeeri) suurista määristä Prohippurissa, antotavasta ja lääkkeen laadunvalvonnasta yleensä.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei Prohippurista saatava hyöty ole sen riskejä suurempi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessään, jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että se tarvitsee lisää aikaa valmistellakseen riittävät vastaukset lääkevalmistekomitean kysymyksiin.

Peruuttamista koskeva kirje on [tässä](#).

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti lääkevalmistekomitealle, ettei meneillään ole Prohippurilla tehtäviä kliinisiä tutkimuksia ja että Ranskassa hyväksyttyä erityiskäyttöohjelmaa jatketaan suunnitellusti.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa tai erityiskäyttöohjelmassa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä hoitavaan lääkäriin.