



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

A Prohippur-ra (nátrium-benzoát) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2018. április 3-án a Lucane Pharma hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a nem ketotikus hiperglikémia és a karbamidciklus-zavarok kezelésére szánt Prohippur-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Mi a Prohippur?

Az Prohippur egy gyógyszer, melynek hatóanyaga a nátrium-benzoát. Granulátum formájában tervezték forgalmazni.

Milyen alkalmazásra szánták a Prohippur-t?

A Prohippur-t a következő örökletes betegségek kezelésére szánták:

- nem ketotikus hiperglikémia, amely során a glicin aminosav vérszintje abnormálisan magas.
- karbamidciklus-zavarok csoportja, amelybe olyan betegségek tartoznak, ahol a szervezetben ammónia formájában előforduló nitrogén szintje abnormálisan magas.

Nagy mennyiségben mind a glicin, mind pedig az ammónia káros és súlyos agykárosodáshoz vezethet. A betegségek kialakulását az anyagok eltávolításáért felelős enzimek hiánya okozza.

2002 szeptember 11-én a Prohippur a nem ketotikus hiperglikémia kezelésére szolgáló, 2016 július 14-én, augusztus 29-én és november 18-án pedig a karbamidciklus-zavarok kezelésére szolgáló, ritka betegségek elleni gyógyszer megjelölést kapta („orphan medicine”). További információt a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről itt találhat: [itt](#).

Hogyan fejt ki hatását a Prohippur?

A Prohippur hatóanyaga, a nátrium-benzoát, csökkenti a glicin kóros szintjét azáltal, hogy a glicinhez kapcsolódva a vesék által könnyebben kiválasztódó anyagot képez. A Prohippur a többlet nitrogén eltávolítását is segít, ezáltal csökkenti a szervezet ammónia szintjét.



Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat olyan közzétett klinikai vizsgálatok adatait nyújtotta be, amelyek a nátrium-benzoát alkalmazását vizsgálták nem ketotikus hiperglikémiában és a karbamidciklus-zavaraiban szenvedő betegekben. A Prohippur-t nem vizsgálták közvetlenül ilyen betegségekben szenvedő betegekben.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy a CHMP már értékelte a vállalat által benyújtott dokumentációt, és kidolgozta a kérdéslisztákat. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt az utolsó kérdéssorra.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában a CHMP-nak fenntartásai voltak. A CHMP szerint a közzétett vizsgálatok, amelyeket a vállalat benyújtott, nem tartalmaztak elég bizonyítékot a nátrium-benzoát hatásosságára és biztonságosságára vonatkozóan a különböző betegségekben. A Prohippurt nem használták továbbá klinikai vizsgálatokban, ezért a vállalatnak olyan adatokat kellett volna benyújtania, amelyek szerint a Prohippur-granulátum ugyanolyan hatással rendelkezik, mint a közzétett klinikai vizsgálatokban felhasznált nátrium-benzoát. Végül, a CHMP-nek kérdései merültek fel egy anyagról (butilált metakrilát-kopolimer), amely nagy mennyiségben van jelen a Prohippur-ban, valamint az alkalmazás módjáról és általánosságban véve a gyógyszer minőségellenőrzéséről.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP meglátása szerint a Prohippur előnyei nem haladták meg a kockázatokat.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat úgy nyilatkozott, hogy több időre lenne szüksége, hogy megfelelő válaszokat adjon a CHMP által feltett kérdésekre.

A visszavonásról szóló levél [itt](#) olvasható.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vettek a klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat értesítette a CHMP-t, hogy jelenleg nem folynak klinikai vizsgálatok a Prohippur-ral, és hogy a Franciaországban jóváhagyott engedélyezés előtti kezelési program a tervek szerint folytatódik.

Ha Ön engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.