



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2018 m. balandžio 27 d.
EMA/258015/2018
EMA/H/C/004150

Paraiškos gauti Prohippur (natrio benzoato) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

2018 m. balandžio 3 d. bendrovė „Lucane Pharma“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką gauti vaisto Prohippur, skirto neketoninės hiperklicinemijos ir šlapalo ciklo sutrikimų gydymui, registracijos pažymėjimą.

Kas yra Prohippur?

Prohippur – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos natrio benzoato. Šį vaistą buvo numatyta tiekti granulių forma.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Prohippur?

Prohippur buvo numatyta gydyti šiuo paveldimus sutrikimus:

- neketoninę hipergliciniją, kuria sergant kraujyje susidaro neįprastai didelė aminorūgšties glicino koncentracija;
- šlapalo ciklo sutrikimus – grupę sutrikimų, dėl kurių organizme amoniako forma susidaro neįprastai didelė azoto koncentracija.

Dideli tiek glicino, tiek amoniako kiekiai yra kenksmingi ir gali sukelti sunkius galvos smegenų pažeidimus. Šiuos sutrikimus sukelia fermentų, kurie būtini tam, kad šios medžiagos būtų pašalinamos iš organizmo, trūkumas.

2002 m. rugsėjo 11 d. Prohippur priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal neketoninės hiperglicinemijos gydymo indikaciją, o 2016 m. liepos 14 d., rugpjūčio 29 d. ir lapkričio 18 d. – pagal šlapalo ciklo sutrikimų gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams rasite [čia](#).



Kaip veikia Prohippur?

Veiklioji Prohippur medžiaga natrio benzoatas padeda sumažinti kenksmingą glicino koncentraciją jungdamasi prie glicino ir suformuodama medžiagą, kurią inkstams lengviau pašalinti iš organizmo. Prohippur taip pat padeda iš organizmo pašalinti azoto perteklių ir taip sumažina amoniako koncentraciją.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė paskelbtų tyrimų duomenis, susijusius su natrio benzoato vartojimu sergant neketonine hiperglicinemija ir šlapalo ciklo sutrikimais. Konkrečių Prohippur poveikio šiomis ligomis sergantiems pacientams tyrimų neatlikta.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai CHMP jau buvo įvertinęs bendrovės pateiktus dokumentus ir parengęs klausimų sąrašus. Paraiškos atsiėmimo metu bendrovė dar nebuvo atsakiusi į paskutinį kartą pateiktus klausimus.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Paraiškos atsiėmimo metu CHMP dar turėjo abejonių. CHMP atkreipė dėmesį į tai, kad bendrovės pateiktuose paskelbtuose tyrimuose buvo pateikta nepakankamai duomenų, patvirtinančių natrio benzoato veiksmingumą ir saugumą gydant įvairius sutrikimus. Be to, kadangi Prohippur nebuvo vartojamas klinikinių tyrimų metu, bendrovė turėjo pateikti duomenis, kuriais būtų įrodyta, kad Prohippur granulės veikia taip pat, kaip paskelbtų tyrimų metu vartotas natrio benzoatas. Galiausiai CHMP iškilo klausimų dėl didelio vienos Prohippur sudėtyje esančios medžiagos (butilinto metakrilato kopolimero) kiekio, vaisto vartojimo būdo ir kokybės kontrolės apskritai.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad Prohippur teikiama nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Laiške, kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, kad jai reikia daugiau laiko parengti tinkamus atsakymus į CHMP iškeltus klausimus.

Laišką dėl paraiškos atsiėmimo galima rasti [čia](#).

Kokių pasekmių paraiškos atsiėmimas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė informavo CHMP, kad šiuo metu nevykdomi Prohippur klinikiniai tyrimai ir kad Prancūzijoje patvirtinta labdaringo vartojimo programa bus tęsiama, kaip numatyta.

Jeigu dalyvaujate labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.