



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2018. gada 27. aprīlis
EMA/258015/2018
EMA/H/C/004150

Prohippur (nātrija benzoāta) reģistrācijas apliecības pieteikuma atsaukšana

Uzņēmums Lucane Pharma 2018. gada 3. aprīlī oficiāli informēja Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteju (CHMP) par savu lēmumu atsaukt Prohippur reģistrācijas apliecības pieteikumu. Šīs zāles tiek izmantotas neketotiskas hiperglicinēmijas un urīnvielas cikla traucējumu ārstēšanai.

Kas ir Prohippur?

Prohippur ir zāles, kas satur aktīvo vielu nātrija benzoātu. Bija paredzēts, ka tās būs pieejamas granulu veidā.

Kādam nolūkam bija paredzēts lietot Prohippur?

Prohippur bija paredzētas lietošanai šādu iedzimtu traucējumu ārstēšanai:

- neketotiska hiperglicinēmija, kuras gadījumā asinīs ir patoloģiski augsts aminoskābes glicīna līmenis;
- urīnvielas cikla traucējumi — traucējumu grupa, kad organismā ir patoloģiski augsts slāpekļa līmenis amonjaka formā.

Lielos daudzumos gan glicīns, gan amonjaks ir kaitīgs un var izraisīt smagu galvas smadzeņu bojājumu. Šos traucējumus izraisa minēto vielu izvadīšanai nepieciešamo enzīmu trūkums.

Prohippur 2002. gada 11. septembrī tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai, lai ārstētu retu slimību neketotisku hiperglicinēmiju. Prohippur 2016. gada 14. jūlijā, 2016. gada 29. augustā un 2016. gada 18. novembrī tika apstiprinātas kā zāles retu slimību ārstēšanai, lai ārstētu retu slimību urīnvielas cikla traucējumus. Sīkāka informācija par zāļu apzīmējumu reti sastopamu slimību ārstēšanai ir pieejama [šeit](#).



Kā Prohippur darbojas?

Prohippur aktīvā viela nātrija benzoāts palīdz mazināt glicīna kaitīgos līmeņus, piesaistoties glicīnam un veidojot vielu, ko ir vieglāk izvadīt caur nierēm. Prohippur palīdz arī izvadīt no organisma lieko slāpekli, tādējādi pazeminot amonjaka līmeni.

Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza publicēto pētījumu datus par nātrija benzoāta lietošanu pacientiem ar neketotisku hiperglicinēmiju un urīnvielas cikla traucējumiem. Prohippur nebija tiešā veidā pētīts pacientiem, kuriem ir šie traucējumi.

Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauca?

Pieteikumu atsauca, kad CHMP bija izvērtējusi uzņēmuma iesniegtos dokumentus un sagatavojusi jautājumu sarakstu. Atsaukušanas brīdī uzņēmums nebija sniedzis atbildes uz pēdējā posma jautājumiem.

Kāds bija CHMP ieteikums tajā laikā?

Atsaukušanas brīdī CHMP bija daži iebildumi. CHMP uzskatīja, ka uzņēmuma iesniegtie publicētie pētījumi nesniedz pietiekami pierādījumu par nātrija benzoāta efektivitāti un drošumu dažādu traucējumu gadījumā. Turklāt, tā kā Prohippur nebija lietotas klīniskajos pētījumos, uzņēmumam bija jāiesniedz dati, lai pierādītu, ka Prohippur granulas darbojas tādā pašā veidā kā publicētajos pētījumos lietotais nātrija benzoāts. CHMP bija jautājumi par butilēta metakrilāta kopolimēra augsto līmeni Prohippur sastāvā, lietošanas veidu un zāļu kvalitātes kontroli kopumā.

Tāpēc atsaukušanas brīdī CHMP uzskatīja, ka Prohippur sniegtie ieguvumi neatsver to radīto risku.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

Vēstulē, kurā uzņēmums informēja aģentūru par pieteikuma atsaukšanu, tas paziņoja, ka uzņēmumam vajag vairāk laika, lai sagatavotu atbilstošas atbildes uz CHMP uzdotajiem jautājumiem.

Atsaukušanas vēstule ir pieejama [šeit](#).

Kādas sekas šis atsaukums rada pacientiem, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzietīgas zāļu lietošanas programmās?

Uzņēmums informēja CHMP, ka klīniskie pētījumi ar Prohippur nenotiek un ka Francijā apstiprinātā līdzietīgas zāļu lietošanas programma turpināsies, kā plānots.

Ja Jūs pašreiz piedalāties līdzietīgas zāļu lietošanas programmā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par terapiju, jautājiet ārstam, kas Jums to izraksta.