



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27 ta' April 2018
EMA/258015/2018
EMA/H/C/004150

Irtirar tal-applikazzjoni għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Prohippur (benzoat tas-sodju)

Fit-3 ta' April 2018, Lucane Pharma għarrfet uffiċjalment lill-Kumitat għall-Prodotti Mediċinali għall-Użu mill-Bniedem (CHMP) li xtaqet tirtira l-applikazzjoni tagħha għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għall-Prohippur, għall-kura ta' ipergliċinemija mhux ketotika u għad-disturbi fiċ-ċiklu tal-urea.

X'inhu Prohippur?

Prohippur huwa mediċina li fiha s-sustanza attiva benzoat tas-sodju. Dan kellu jkun disponibbli bħala granuli.

Għal xiex kien mistenni li jintuża Prohippur?

Prohippur kien mistenni li jintuża biex jikkura mard li jintiret kif ġej:

- ipergliċinemija mhux ketotika, fejn fid-demm ikunu jinsabu livelli għoljin b'mod anormali tal-aċidu amminiku glicina.
- disturbi fiċ-ċiklu tal-urea, grupp ta' kundizzjonijiet fejn livelli għoljin b'mod anormali ta' nitroġenu jimmanifestaw ruħhom fil-ġisem fil-forma ta' ammonja.

Kemm il-glicina kif ukoll l-ammonja f'ammonti għoljin huma ta' ħsara u jistgħu jikkawżaw danni severi fil-moħħ. Il-kundizzjonijiet huma kkawżati minn nuqqas ta' enzimi meħtieġa biex dawn jitneħħew.

Prohippur kien imfassal bħala 'mediċina orfni' (mediċina li tintuża f'mard rari) għal ipergliċinemija mhux ketotika fil-11 ta' Settembru 2002 u għal disturbi fiċ-ċiklu tal-urea fl-14 ta' Lulju 2016, fid-29 ta' Awwissu 2016 u fit-18 ta' Novembru 2016. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tista' tinstab [hawn](#)



Kif jaħdem Prohippur?

Is-sustanza attiva f'Prohippur, il-benzoat tas-sodju, tgħin biex tnaqqas il-livelli tal-gliċina li huma ta' periklu billi tehel mal-gliċina biex tiffirma sustanza li hija iktar faċli biex titneħha mill-kliwi. Prohippur jgħin ukoll biex ineħhi l-eċċess ta' nitroġenu mill-ġisem, biex b'hekk jitnaqqsu l-livelli tal-ammonja.

X'ipprezentat il-kumpanija biex tissostanzja l-applikazzjoni tagħha?

Il-kumpanija pprezentat data minn studji ppubblikati dwar l-użu tal-benzoat tas-sodju fil-pazjenti b'ipergliċinemija mhux ketotika u b'disturbi fiċ-ċiklu tal-urea. Prohippur ma ġiex studjat b'mod dirett f'pazjenti b'dawn il-kundizzjonijiet.

Sa fejn kienet waslet l-evalwazzjoni tal-applikazzjoni qabel ma din ġiet irtirata?

L-applikazzjoni ġiet irtirata wara li s-CHMP kien evalwa d-dokumentazzjoni pprovduta mill-kumpanija u fformula lista ta' mistoqsijiet. Il-kumpanija kienet għadha ma wegħbitx għall-aħħar rawnd ta' mistoqsijiet fiż-żmien tal-irtirar.

X'kienet ir-rakkomandazzjoni tas-CHMP dak iż-żmien?

Fiż-żmien tal-irtirar, is-CHMP wera xi tħassib. Is-CHMP innota li l-istudji ppubblikati sottomessi mill-kumpanija ma pprovdewx biżżejjed evidenza dwar l-effettività u s-sigurtà tal-benzoat tas-sodju fid-disturbi varji. Barra minn hekk, billi Prohippur ma ntużax fi provi kliniċi, il-kumpanija kellha tipprovd data biex turi li l-granuli Prohippur ħadmu bl-istess mod bħall-benzoat tas-sodju fl-istudji ppubblikati. Fl-aħħar nett, is-CHMP kellu mistoqsijiet dwar il-livelli għoljin ta' sustanza f'Prohippur (kopolimeru metakrilat butilat), il-metodu ta' amministrazzjoni u l-kontroll ta' kwalità tal-medicina b'mod ġenerali.

Għalhekk, fiż-żmien tal-irtirar, is-CHMP kien tal-fehma li l-benefiċċji ta' Prohippur ma kinux akbar mir-riskji tiegħu.

X'kienu r-raġunijiet mogħtija mill-kumpanija għall-irtirar tal-applikazzjoni?

Fl-ittra li baġtet lill-Aġenzija biex tgħarrafha bl-irtirar tal-applikazzjoni, il-kumpanija sostniet li kienet teħtieġ aktar żmien sabiex tipprepara twegħbiet adegwati għall-mistoqsijiet imqajma mis-CHMP.

L-ittra tal-irtirar tista' tinstab [hawn](#).

X'inhuma l-konsegwenzi ta' dan l-irtirar għall-pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompasjoni?

Il-kumpanija infurmat lis-CHMP li ma kienx hemm provi kliniċi bi Prohippur għaddejjin u l-programm ta' użu b'kompasjoni approvat fi Franza se jitkompla kif ipplanat.

Jekk inti qed tieħu sehem fi programm ta' użu b'kompasjoni u teħtieġ aktar informazzjoni dwar il-kura tiegħek, għamel kuntatt mat-tabib li jkun qed jagħtik il-kura.