



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27 kwietnia 2018 r.
EMA/258015/2018
EMA/H/C/004150

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Prohippur (benzoesan sodu)

W dniu 3 kwietnia 2018 r. firma Lucane Pharma powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu Prohippur, który miał być stosowany w leczeniu hiperglicynemii nieketotycznej i zaburzeń cyklu mocznikowego.

Co to jest Prohippur?

Prohippur jest lekiem zawierającym substancję czynną benzoesan sodu. Lek ten miał być dostępny w postaci granulatu.

W jakim celu miał być stosowany produkt Prohippur?

Prohippur miał być stosowany w leczeniu następujących chorób dziedzicznych:

- hiperglicynemia nieketotyczna (występowanie nieprawidłowo wysokich stężeń aminokwasu glicyny we krwi);
- zaburzenia cyklu mocznikowego (grupa schorzeń, w przebiegu których w organizmie występują nieprawidłowo wysokie stężenia azotu w postaci amoniaku).

Zarówno glicyna, jak i amoniak są szkodliwe w dużych ilościach i mogą wywołać ciężkie uszkodzenie mózgu. Schorzenia wywołane są brakiem enzymów niezbędnych do usuwania tych substancji.

W dniu 11 września 2002 r. lek Prohippur uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu hiperglicynemii nieketotycznej, a w dniu 14 lipca 2016 r., 29 sierpnia 2016 r. i 18 listopada 2016 r. w leczeniu zaburzeń cyklu mocznikowego. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć [tutaj](#).



Jak działa produkt Prohippur?

Substancja czynna leku Prohippur, benzoesan sodu, pomaga obniżyć szkodliwe stężenie glicyny poprzez przyłączanie się do glicyny i tworzenie substancji, która jest łatwiej usuwana przez nerki. Prohippur pomaga także usuwać z organizmu nadmiar azotu, obniżając w ten sposób stężenie amoniaku.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła dane z opublikowanych badań dotyczących zastosowania benzoesu sodu u pacjentów z hiperglicynemią nieketotyczną i zaburzeniami cyklu mocznikowego. Leku Prohippur nie badano bezpośrednio u pacjentów z tymi schorzeniami.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez CHMP oceny dokumentacji przedłożonej przez firmę i sformułowaniu list pytań. Firma wycofała wniosek przed udzieleniem odpowiedzi na ostatnią serię pytań.

Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?

W momencie wycofania wniosku CHMP miał pewne zastrzeżenia. CHMP uznał, że opublikowane badania przedłożone przez firmę nie dostarczają wystarczających dowodów na skuteczność i bezpieczeństwo stosowania benzoesu sodu w różnych schorzeniach. Ponadto z uwagi na fakt, że Prohippur nie był stosowany w badaniach klinicznych, firma powinna przedstawić dane wskazujące, że Prohippur granulat działa w taki sam sposób jak benzoesan sodu zastosowany w opublikowanych badaniach. Ponadto CHMP miał pytania odnośnie do wysokiego stężenia substancji w leku Prohippur (butylowany kopolimer metakrylanu), metody podawania i ogólnie na temat kontroli jakości leku.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem CHMP korzyści ze stosowania produktu Prohippur nie przewyższały ryzyka.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim piśmie powiadającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że potrzebuje więcej czasu na przygotowanie właściwych odpowiedzi na pytania postawione przez CHMP.

Pismo powiadające o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach „leczenia ostatniej szansy”?

Firma powiadomiła CHMP, że obecnie nie są prowadzone badania kliniczne leku Prohippur i że program leczenia ostatniej szansy zatwierdzony we Francji będzie kontynuowany zgodnie z planem.

W przypadku uczestnictwa w programie leczenia ostatniej szansy i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.