



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27 aprilie 2018
EMA/258015/2018
EMA/H/C/004150

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Prohippur (benzoat de sodiu)

La 3 aprilie 2018, Lucane Pharma a informat oficial Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) că dorește să-și retragă cererea de autorizare de punere pe piață pentru Prohippur, pentru tratamentul hiperglicemiei noncetoneice și al tulburărilor ciclului ureei.

Ce este Prohippur?

Prohippur este un medicament care conține substanța activă benzoat de sodiu. Medicamentul urma să fie disponibil sub formă de granule.

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Prohippur?

Prohippur ar fi trebuit să se utilizeze pentru tratarea următoarelor tulburări ereditare:

- hiperglicemie noncetonică, în care apar niveluri anormal de mari ale aminoacidului glicină în sânge;
- tulburări ale ciclului ureei, o categorie de afecțiuni în care în organism apar niveluri anormal de mari de azot, sub formă de amoniac.

În cantități mari, atât glicina, cât și amoniacul sunt dăunătoare și pot provoca leziuni cerebrale severe. Leziunile sunt cauzate de lipsa unor enzime necesare pentru eliminare.

Prohippur a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) pentru hiperglicemie noncetonică la data de 11 septembrie 2002 și pentru tulburări ale ciclului ureei la 14 iulie 2016, la 29 august 2016 și la 18 noiembrie 2016. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile [aici](#).



Cum acționează Prohippur?

Substanța activă din Prohippur, benzoatul de sodiu, ajută la reducerea nivelurilor dăunătoare de glicină, legându-se de aceasta și formând o substanță pe care rinichii o elimină mai ușor. Prohippur ajută și la eliminarea excesului de azot din organism, reducând astfel nivelurile de amoniac.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat date din studii publicate cu privire la utilizarea benzoatului de sodiu la pacienți cu hiperglicinemie noncetonică și cu tulburări ale ciclului ureei. Prohippur nu a fost studiat direct pe pacienți cu aceste afecțiuni.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce CHMP evaluase documentația prezentată de companie și formulase listele de întrebări. În momentul retragerii cererii, compania nu răspunsese încă la ultima rundă de întrebări.

Care a fost recomandarea CHMP în momentul respectiv?

În momentul retragerii cererii, CHMP avea unele motive de îngrijorare. CHMP a remarcat că studiile publicate prezentate de companie nu furnizau dovezi suficiente cu privire la eficacitatea și siguranța benzoatului de sodiu în diferitele tulburări. În plus, având în vedere că Prohippur nu a fost utilizat în studii clinice, compania ar fi trebuit să furnizeze date care să demonstreze că granulele de Prohippur acționează în același mod ca benzoatul de sodiu utilizat în studiile publicate. În sfârșit, CHMP avea întrebări privind o substanță (copolimer metacrilat butilat) conținută în Prohippur în concentrații mari, privind metoda de administrare și privind controlul calității în cazul acestui medicament în general.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia CHMP, beneficiile Prohippur nu depășeau riscurile asociate.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În scrisoarea prin care compania înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că are nevoie de mai mult timp pentru a întocmi răspunsuri corespunzătoare la întrebările adresate de CHMP.

Scrisoarea de înștiințare cu privire la retragerea cererii este disponibilă [aici](#).

Care sunt consecințele retragerii cererii pentru pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?

Compania a informat CHMP că nu sunt în derulare studii clinice cu Prohippur și că programul de uz compasional aprobat în Franța va continua conform planificării.

Dacă participați la un program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului care vă administrează acest medicament.