



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

27. apríla 2018
EMA/258015/2018
EMA/H/C/004150

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Prohippur (benzoát sodný)

Dňa 3. apríla 2018 spoločnosť Lucane Pharma oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Prohippur na trh, ktorý je určený na liečbu neketotickej hyperglycinémie a porúch cyklu močoviny.

Čo je liek Prohippur?

Prohippur je liek obsahujúci účinnú látku benzoát sodný. Liek mal byť dostupný vo forme granulátu.

Aké bolo predpokladané použitie lieku Prohippur?

Liek Prohippur sa mal používať na liečbu týchto dedičných porúch:

- neketotická hyperglycinémia, pri ktorej sa v krvi vyskytujú abnormálne vysoké hladiny aminokyseliny glycínu,
- poruchy cyklu močoviny, čo je skupina ochorení, pri ktorých sa vyskytujú abnormálne vysoké hladiny dusíka v tele vo forme amoniaku.

Glycín aj amoniak sú vo vysokom množstve škodlivé a môžu spôsobiť závažné poškodenie mozgu. Tieto ochorenia sú vyvolané nedostatkom enzýmov potrebných na ich odstránenie.

Liek Prohippur bol 11. septembra 2002 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu neketotickej hyperglycinémie a 14. júla 2016, 29. augusta 2016 a 18. novembra 2016 na poruchy cyklu močoviny. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza [tu](#).

Akým spôsobom liek Prohippur účinkuje?

Účinná látka lieku Prohippur, benzoát sodný, pomáha znížiť škodlivú hladinu glycínu tak, že sa naviaže na glycín a vytvorí látku, ktorú sú obličky schopné z tela ľahšie odstrániť. Liek Prohippur pomáha takisto odstraňovať z tela nadbytočný dusík, čím sa znižuje hladina amoniaku.



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila údaje z uverejnených štúdií, v ktorých sa skúmalo použitie benzoátu sodného u pacientov s neketotickou hyperglycemiou a s poruchami cyklu močoviny. Liek Prohippur sa neskúmalo priamo u pacientov s týmito ochoreniami.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako výbor CHMP vyhodnotil dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila, a sformuloval zoznamy otázok. Spoločnosť v čase stiahnutia žiadosti ešte neodpovedala na poslednú sériu otázok.

Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?

V čase stiahnutia žiadosti mal výbor CHMP určité výhrady. Výbor CHMP konštatoval, že uverejnené štúdie, ktoré spoločnosť predložila, neposkytujú dostatočné dôkazy o účinnosti a bezpečnosti benzoátu sodného pri rôznych poruchách. Okrem toho, keďže liek Prohippur sa nepoužil v klinických skúšaniach, spoločnosť mala predložiť údaje na preukázanie, že granulát lieku Prohippur pôsobí rovnakým spôsobom ako benzoát sodný použitý v uverejnených štúdiách. Výbor CHMP mal takisto otázky týkajúce sa vysokých hladín látky v lieku Prohippur (butylovaný metakrylátový kopolymér), spôsobu podávania a kontroly kvality lieku vo všeobecnosti.

Výbor CHMP preto v čase stiahnutia žiadosti zastával názor, že prínosy lieku Prohippur neprevyšujú jeho riziká.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom liste oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že potrebuje viac času na prípravu primeraných odpovedí na otázky, ktoré vzniesol výbor CHMP.

List spoločnosti oznamujúci agentúre stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala výbor CHMP, že v súčasnosti sa nevykonávajú žiadne klinické skúšania s liekom Prohippur a že program na použitie lieku v naliehavých prípadoch schválený vo Francúzsku bude pokračovať podľa plánu.

Ak sa zúčastňujete na programe na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.