



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Prohippur (natrijev benzoat)

Družba Lucane Pharma je 3. aprila 2018 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Prohippur, namenjenim zdravljenju neketotične hiperglicinemije in motenj ciklusa sečnine.

### Kaj je zdravilo Prohippur?

Prohippur je zdravilo, ki vsebuje učinkovino natrijev benzoat. Na voljo naj bi bilo v obliki zrnec.

### Za kaj naj bi se zdravilo Prohippur uporabljalo?

Zdravilo Prohippur naj bi se uporabljalo za zdravljenje naslednjih dednih bolezni:

- neketotične hiperglicinemije, pri kateri se v krvi pojavljajo nenormalno visoke ravni aminokislinske glicina;
- motenj ciklusa sečnine, tj. skupine stanj, pri katerih se v telesu pojavljajo nenormalno visoke ravni dušika v obliki amoniaka.

Glicin in amoniak sta v večjih količinah škodljiva in lahko povzročata hude možganske poškodbe. Bolezni sta posledica pomanjkanja encimov, ki so potrebni za odstranjevanje navedenih snovi.

Zdravilo Prohippur je bilo 11. septembra 2002 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje neketotične hiperglicinemije ter 14. julija 2016, 29. avgusta 2016 in 18. novembra 2016 za zdravljenje motenj ciklusa sečnine. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo [tukaj](#).

### Kako zdravilo Prohippur deluje?

Učinkovina zdravila Prohippur, natrijev benzoat, pomaga znižati škodljive ravni glicina, tako da se pritrdi na glicin in tvori snov, ki jo ledvice lažje odstranijo. Zdravilo Prohippur prav tako pomaga odstraniti odvečni dušik iz telesa in tako zniža raven amoniaka.



## **Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?**

Družba je predložila podatke objavljenih študij o uporabi natrijevega benzoata pri bolnikih z neketotično hiperglicinemijo in motnjami ciklusa sečnine. Zdravila Prohippur niso proučevali neposredno pri bolnikih s temi boleznimi.

## **Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?**

Vlogo so umaknili po tem, ko je odbor CHMP že ocenil dokumentacijo, ki jo je predložila družba, in oblikoval seznam vprašanj. Družba ob umiku vloge še ni odgovorila na zadnji sklop vprašanj.

## **Kakšno je bilo takrat priporočilo CHMP?**

Odbor CHMP je ob umiku vloge izrazil določene zadržke. Ugotovil je, da objavljene študije, ki jih je predložila družba, ne zagotavljajo dovolj dokazov o učinkovitosti in varnosti natrijevega benzoata pri različnih boleznih. Ker se zdravilo Prohippur ni uporabljalo v kliničnih preskušanjih, bi morala družba predložiti podatke, ki kažejo, da zrnca zdravila Prohippur delujejo enako kot natrijev benzoat, ki so ga uporabljali v objavljenih študijah. Na koncu je imel odbor CHMP tudi vprašanja o visokih ravneh snovi v zdravilu Prohippur (kopolimera butiliranega metakrilata), načinu dajanja zdravila in nadzoru kakovosti zdravila na splošno.

Zato je ob umiku vloge menil, da koristi zdravila Prohippur ne odtehtajo z njim povezanih tveganj.

## **Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?**

Družba je v dopisu, s katerim je agencijo obvestila o umiku vloge, navedla, da potrebuje več časa za pripravo ustreznih odgovorov na vprašanja, ki jih je zastavil odbor CHMP.

Dopis o umiku vloge je na voljo [tukaj](#).

## **Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?**

Družba je odbor CHMP obvestila, da trenutno ne potekajo klinična preskušanja zdravila Prohippur in da se bo program sočutne uporabe, odobren v Franciji, nadaljeval po načrtu.

Če ste vključeni v program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki vam je predpisal zdravljenje.