



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Prohippur (natriumbensoat)

Den 3 april 2018 underrättade Lucane Pharma officiellt Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar återkalla sin ansökan om godkännande för försäljning för Prohippur, som var avsett för behandling av icke-ketotisk hyperglycinemi och rubbningar i ureaomsättningen.

Vad är Prohippur?

Prohippur är ett läkemedel som innehåller den aktiva substansen natriumbensoat. Det skulle finnas som granulat.

Vad skulle Prohippur användas för?

Prohippur skulle användas för att behandla följande ärftliga sjukdomar:

- icke-ketotisk hyperglycinemi, vid vilken onormalt höga nivåer av aminosyran glycin uppstår i blodet,
- rubbningar i ureaomsättningen, en grupp tillstånd vid vilka onormalt höga kvävenivåer uppstår i kroppen i form av ammoniak.

Både glycin och ammoniak är skadliga i stora mängder och kan orsaka allvarlig hjärnskada. Tillstånden orsakas av en brist på de enzymer som krävs för att avlägsna dem.

Prohippur klassificerades den 11 september 2002 som ett säräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid icke-ketotisk hyperglycinemi samt den 14 juli 2016, 29 augusti 2016 och 18 november 2016 som ett säräkemedel avsett att användas vid rubbningar i ureaomsättningen. Mer information om klassificeringen som säräkemedel finns [här](#).



Hur verkar Prohippur?

Den aktiva substansen i Prohippur, natriumbensoat, hjälper till att minska skadliga glycinivåer genom att binda till glycin och bilda ett ämne som njurarna lättare kan göra sig av med. Prohippur hjälper också till att avlägsna kväveöverskott ur kroppen, så att ammoniaknivåerna sänks.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lämnade in data från publicerade studier om användningen av natriumbensoat hos patienter med icke-ketotisk hyperglycinemi och rubbningar i ureaomsättningen. Prohippur studerades inte direkt på patienter med dessa sjukdomar.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter det att CHMP hade utvärderat den dokumentation som företaget lämnat in och sammanställt en frågelista. Vid tidpunkten för återkallandet hade företaget ännu inte besvarat den sista omgången frågor.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Vid tidpunkten för återkallandet hyste CHMP vissa farhågor. CHMP noterade att de publicerade studier som företaget skickat in inte gav tillräckliga bevis för natriumbensoats effekt och säkerhet vid de olika tillstånden. Eftersom Prohippur inte användes i kliniska prövningar skulle företaget dessutom ha lämnat in data som visade att Prohippur granulat verkade på samma sätt som det natriumbensoat som användes i de publicerade studierna. Slutligen hade CHMP frågor om de höga nivåerna av ett ämne i Prohippur (butylmetakrylat-kopolymer), om läkemedlets administrerings sätt och kvalitetskontroll i allmänhet.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför CHMP att nyttan med Prohippur inte övervägde riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I skrivelsen till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att de behövde mer tid för att förbereda lämpliga svar på de frågor som CHMP tagit upp.

Företagets skrivelse om återkallande av ansökan finns [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade CHMP om att inga kliniska prövningar pågår med Prohippur och att ett s.k. compassionate use-program som godkänts i Frankrike kommer att fortsätta som planerat.

Om du deltar i ett s.k. compassionate use-program och behöver mer information om din behandling kan du kontakta den läkare som ger dig läkemedlet.