



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18. listopada 2019.
EMA/521995/2019
EMA/H/C/004734

Povlačenje zahtjeva za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Xyndari (glutamin)

Tvrtka Emmaus Medical Europe Ltd povukla je zahtjev za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Xyndari za liječenje bolesti srpastih stanica.

Tvrtka je povukla zahtjev 18. rujna 2019.

Što je Xyndari i za što se taj lijek trebao koristiti?

Xyndari je razvijen kao lijek za liječenje bolesti srpastih stanica, genetske bolesti zbog koje crvene krvne stanice postaju krute i poprimaju oblik polumjeseca ili srpa. Abnormalne stanice onemogućuju protok krvi u tijelu i oslobađaju hemoglobin (protein koji prenosi kisik) u krv. To uzrokuje bol, oštećenje organa, opetovane infekcije i anemiju (niska razina hemoglobina).

Xyndari sadrži djelatnu tvar glutamin i trebao je biti dostupan u obliku praška koji se otapa u tekućini i uzima kroz usta. Glutamin je djelatna tvar u nekoliko lijekova koji se primjenjuju za parenteralnu prehranu (hranjive tvari koje se daju ukapavanjem u venu).

Xyndari je uvršten na popis lijekova za rijetke bolesti dana 4. srpnja 2012. za bolest srpastih stanica. Dodatne informacije o uvrštenju lijekova za rijetke bolesti dostupne su na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011.

Kako djeluje Xyndari?

Način na koji djelatna tvar u lijeku Xyndari, glutamin, djeluje na bolest srpastih stanica nije posve jasan. Ispitivanja pokazuju da glutamin, kada ga u bolesnika s bolesti srpastih stanica apsorbiraju abnormalne crvene krvne stanice, ima antioksidativni učinak (uklanja molekule koje se nazivaju slobodni radikali i koje oštećuju stanice) i smanjuje lijepljenje krvnih stanica na stijenke krvnih žila. Očekivalo se da će se time poboljšati dotok krvi u organe, čime bi se smanjila razdoblja boli (koja se nazivaju krizne epizode bolesti srpastih stanica) u bolesnika s bolesti srpastih stanica.



Što je tvrtka dostavila u prilog svojem zahtjevu?

Tvrtka je predstavila rezultate glavnog ispitivanja na 230 bolesnika koji boluju od bolesti srpastih stanica. Bolesnici su primali Xyndari ili placebo (prividno liječenje) u razdoblju od jedne godine. Glavno mjerilo učinkovitosti bio je broj kriznih epizoda u bolesnika koji boluju od bolesti srpastih stanica. U okviru ispitivanja također se istraživalo koliko često bolesnici moraju ići u bolnicu zbog boli koju uzrokuje bolest srpastih stanica. Tvrtka je ujedno podnijela rezultate popratnog ispitivanja u okviru kojega su se razmatrale slične mjere učinkovitosti u 70 bolesnika koji su primali Xyndari ili placebo.

U kojoj je fazi bila procjena zahtjeva kada je povučen?

Procjena je bila završena i Europska agencija za lijekove preporučila je odbijanje zahtjeva za izdavanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet, koji je u trenutku povlačenja bio u postupku preispitivanja na zahtjev tvrtke. Tvrtka je povukla zahtjev prije dovršetka preispitivanja i prije nego što je Europska komisija donijela odluku o preporuci Agencije.

Koja je bila preporuka Agencije u tom trenutku?

Na temelju pregleda podataka, u trenutku povlačenja Agencija je smatrala da bi zahtjev za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Xyndari za liječenje bolesti srpastih stanica trebalo odbiti.

Agencija je smatrala da glavno ispitivanje nije pokazalo da je Xyndari učinkovit u smanjenju broja kriznih epizoda u bolesnika s bolesti srpastih stanica ili posjeta bolnici. Velik broj bolesnika, od kojih je većina uzimala Xyndari, a ne placebo, odustao je od ispitivanja prije nego što je ono završeno, a informacije o načinu na koji je lijek djelovao na te bolesnike nisu bile dostupne. Agencija je smatrala da način na koji se postupalo s podatcima tih bolesnika nije primjeren.

Agencija je izrazila zabrinutost i zbog popratnog ispitivanja koje je uključivalo mali broj bolesnika od kojih su mnogi isto tako rano odustali od ispitivanja. Osim toga, u tom je ispitivanju više bolesnika koji su uzimali Xyndari nego bolesnika koji su uzimali placebo primilo lijek za bolest srpastih stanica koji se naziva hidroksiureja. To je moglo utjecati na rezultate ispitivanja.

Sukladno navedenome, Agencija je u vrijeme povlačenja smatrala da tvrtka nije u cijelosti odgovorila na istaknuta pitanja te da koristi lijeka Xyndari nisu potvrđene.

Koje je razloge za povlačenje zahtjeva navela tvrtka?

U svojem [dopisu](#) kojim obavještava Agenciju o povlačenju zahtjeva, tvrtka je navela da je do povlačenja zahtjeva došlo zbog promjene u marketinškoj strategije tvrtke.

Ima li ovo povlačenje zahtjeva posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima ili u programima milosrdnog davanja lijekova?

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema kliničkih ispitivanja lijeka Xyndari u Europi koja su u tijeku. Tvrtka će nastaviti sa svojim programima milosrdnog davanja lijekova koji su u tijeku do okončanja rasprava s nacionalnim tijelima koja su dala odobrenje za milosrdno davanje lijeka.

Ako sudjelujete u programu milosrdnog davanja lijekova te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vas liječi.