



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2019 m. spalio 18 d.
EMA/521995/2019
EMA/H/C/004734

Paraiškos gauti Xyndari (glutamino) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

Bendrovė „Emmaus Medical Europe Ltd“ atsiėmė savo paraišką gauti vaisto Xyndari registracijos pažymėjimą pagal pjautuvo pavidalo ląstelių anemijos gydymo indikaciją.

Bendrovė atsiėmė paraišką 2019 m. rugsėjo 18 d.

Kas yra Xyndari ir kokiais atvejais jį buvo numatyta vartoti?

Xyndari buvo sukurtas kaip vaistas nuo pjautuvo pavidalo ląstelių anemijos – genetinės ligos, kuria sergant raudonosios kraujo ląstelės sukieta ir įgauna pjautuvo formą. Pakitusios ląstelės stabdo kraujo tekėjimą žmogaus organizme ir išskiria hemoglobina (baltymą, kuris perneša deguonį) į kraujotaką. Tai sukelia skausmą, organų pažeidimus, lemia pakartotines infekcijas ir anemiją (hemoglobino kiekio sumažėjimą).

Xyndari sudėtyje yra veikliosios medžiagos glutamino ir jį buvo numatyta tiekti miltelių, kuriuos reikia ištirpdyti skystyje ir išgerti, forma. Glutaminas yra veiklioji medžiaga, kurios yra keliuose vaistuose, skirtuose parenterinei mitybai (kai maistinės medžiagos lašinamos į veną).

2012 m. liepos 4 d. Xyndari buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal pjautuvo pavidalo ląstelių anemijos gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011.

Kaip veikia Xyndari?

Kaip veiklioji Xyndari medžiaga glutaminas veikia gydant pjautuvo pavidalo ląstelių anemiją, nevisiškai ištirta. Iš tyrimų duomenų matyti, kad kai glutaminą įsisavina pakitusios pjautuvo pavidalo ląstelių anemija sergančių žmonių raudonosios kraujo ląstelės, jis veikia kaip antioksidantas (pašalina molekules, vadinamas laisvaisiais radikalais, kurios pažeidžia ląsteles) ir sumažina kraujo ląstelių lipumą, dėl kurio jos prikimba prie kraujagyslių sienelių. Tikėtasi, kad dėl tokio glutamino poveikio pagerės kraujotaka į organus ir taip sutrumpės skausmo epizodų (vadinamųjų pjautuvo pavidalo ląstelių anemijos krizių), kurie pasireiškia sergant pjautuvo pavidalo ląstelių anemija, trukmė.



Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo 230 pjautuvo pavidalo ląstelių anemija sergančių pacientų, rezultatus. Pacientai vienus metus vartojo arba Xyndari, arba placebą (netikrą vaistą). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientams pasireiškusių pjautuvo pavidalo ląstelių anemijos krizių skaičius. Tyrimo metu taip pat buvo vertinama, kiek dažnai pacientams teko vykti į ligoninę dėl pjautuvo pavidalo ląstelių anemijos sukulto skausmo. Bendrovė taip pat pateikė patvirtinamojo tyrimo, kurį atliekant buvo naudojami panašūs veiksmingumo rodikliai ir buvo tiriami 70 pacientų, kurie vartojo arba Xyndari, arba placebą, rezultatus.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Užbaigus vertinimą, Europos vaistų agentūra buvo pateikusi rekomendaciją neišduoti registracijos pažymėjimo, kuri paraiškos atsiėmimo metu buvo pakartotinai nagrinėjama bendrovės prašymu. Bendrovė atsiėmė paraišką dar neužbaigus pakartotinio nagrinėjimo procedūros ir Europos Komisijai dar nepaskelbus sprendimo dėl agentūros rekomendacijos.

Kokia tuo metu buvo agentūros rekomendacija?

Remdamasi peržiūrėtais duomenimis, paraiškos atsiėmimo metu agentūra laikėsi nuomonės, kad nereikėtų suteikti Xyndari, skirto pjautuvo pavidalo ląstelių anemijos gydymui, registracijos pažymėjimo.

Agentūros nuomone, pagrindiniu tyrimu neįrodyta, kad Xyndari yra veiksmingas siekiant sumažinti pjautuvo pavidalo ląstelių anemijos krizių arba apsilankymų ligoninėje skaičių. Daug pacientų, kurių didesnė grupė vartojo Xyndari, o ne placebą, pasitraukė iš tyrimo dar jam nepasibaigus, ir nebuvo pateikta informacijos apie to vaisto poveikį šiems pacientams. Agentūra nusprendė, kad su šių pacientų tyrimo duomenimis pasielgta nederamai.

Taip pat agentūrai iškilo abejonių dėl patvirtinamojo tyrimo, kuriame dalyvavo nedaug pacientų, kurių daugelis taip pat pirma laiko pasitraukė iš tyrimo. Be to, atliekant šį tyrimą, palyginti su placebo grupe, Xyndari grupėje buvo daugiau pacientų, vartojusių vaistą nuo pjautuvo pavidalo ląstelių anemijos hidroksikarbamidą. Tai galėjo turėti įtakos tyrimo rezultatams.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu agentūra laikėsi nuomonės, kad bendrovė neišsprendė visų komitetui nerimą kėlusiu klausimų ir kad negalima įrodyti Xyndari naudos.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

[Laiške](#), kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė paraišką atsiimanti atsižvelgdama į pasikeitusią bendrovės rinkodaros strategiją.

Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė pranešė agentūrai, kad šiuo metu Europoje nevykdomi Xyndari klinikiniai tyrimai. Bendrovė toliau vykdys labdaringo vartojimo programas, kol bus surengtos diskusijos su nacionalinėmis valdžios institucijomis, kurios jau pritarė šio vaisto vartojimui labdariniais tikslais.

Jeigu dalyvaujate labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.