



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Xyndari (glutamin)

Společnost Emmaus Medical Europe Ltd stáhla svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Xyndari určeného k léčbě srpkovité anémie.

Společnost svou žádost stáhla dne 18. září 2019.

### Co je Xyndari a k čemu měl být používán?

Xyndari byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě srpkovité anémie, což je genetické onemocnění, které se projevuje změnou tvaru červených krvinek na tuhé, protažené srpky. Tyto abnormální buňky brání průtoku krve v těle a uvolňují do krve hemoglobin (bílkovinu přenášející kyslík). To vede k bolestem, poškození orgánů, opakovaným infekcím a anémii (nízkým hladinám hemoglobinu).

Přípravek Xyndari obsahuje léčivou látku glutamin a měl být dostupný ve formě prášku určeného k rozpuštění v tekutině a k užití ústy. Glutamin je léčivá látka obsažená v řadě léčivých přípravků používaných k parenterální výživě (při níž jsou živiny podávány kapáním do žíly).

Přípravek Xyndari byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 4. července 2012. Přípravek měl být určen k léčbě srpkovité anémie. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011).

### Jak přípravek Xyndari působí?

Způsob, jakým glutamin, léčivá látka v přípravku Xyndari, působí při srpkovité anémii, není zcela jasný. Studie naznačují, že glutamin má při vstřebání abnormálními červenými krvinkami při srpkovité anémii antioxidační účinek (odstraňuje molekuly tzv. volných radikálů, které poškozují buňky) a snižuje přilnavost krvinek ke stěnám krevních cév. Předpokládá se, že to zlepšuje průtok krve k orgánům, což vede ke zkrácení bolestivých fází (nazývaných oběhové příhody), které jsou příznakem srpkovité anémie.

---

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?**

Společnost předložila výsledky hlavní studie, do které bylo zařazeno 230 pacientů se srpkovitou anémií. Pacientům byl po dobu jednoho roku podáván přípravek Xyndari, nebo placebo (neúčinný přípravek). Hlavním měřítkem účinnosti byl počet oběhových příhod, které pacienty postihly. Studie rovněž zkoumala, jak často museli být pacienti hospitalizováni kvůli bolestem způsobeným srpkovitou anémií. Společnost předložila rovněž výsledky podpůrné studie (za použití obdobných měřítek účinnosti), do níž bylo zařazeno 70 pacientů léčených přípravkem Xyndari, nebo placebem.

## **V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?**

Posuzování bylo ukončeno a Evropská agentura pro léčivé přípravky doporučila zamítnout udělení registrace, které bylo v době stažení předmětem přezkoumání na žádost společnosti. Společnost svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci stáhla ještě před dokončením přezkoumání a před tím, než Evropská komise vydala rozhodnutí na základě doporučení agentury.

## **Jaké bylo doporučení agentury v dané době?**

Na základě vyhodnocení dostupných údajů byla agentura v době stažení toho názoru, že registrace přípravku Xyndari k léčbě srpkovité anémie by měla být zamítnuta.

Agentura měla za to, že hlavní studie neprokázala účinnost přípravku Xyndari při snižování počtu oběhových příhod ani hospitalizací. Značný počet pacientů, z nichž více užívalo přípravek Xyndari než placebo, od studie ještě před jejím dokončením odstoupil a o tom, jak léčivý přípravek fungoval u těchto pacientů, nejsou k dispozici žádné informace. Agentura se domnívala, že s údaji od těchto pacientů nebylo zacházeno vhodným způsobem.

Agentura také vyjádřila pochybnosti ohledně podpůrné studie, která zahrnovala malý počet pacientů, z nichž mnozí od studie rovněž odstoupili předčasně. Kromě toho byl v rámci této studie většímu počtu pacientů užívajících přípravek Xyndari než placebo podáván léčivý přípravek k léčbě srpkovité anémie nazývaný hydroxyurea. To mohlo ovlivnit výsledky.

Agentura proto v době stažení žádosti zastávala názor, že společnost dostatečně nevyvrátila její pochybnosti a že přínosy přípravku Xyndari nebyly prokázány.

## **Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?**

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že žádost stahuje z důvodu změny marketingové strategie společnosti.

## **Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Xyndari podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?**

Společnost informovala agenturu, že v Evropě v současné době neprobíhají s přípravkem Xyndari žádné klinické studie. Společnost bude pokračovat v probíhajících programech, v nichž je přípravek Xyndari podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, dokud neproběhnou diskuse s vnitrostátními orgány, které souhlas s použitím na základě tohoto principu udělily.

Pokud jste zařazení do programu, v němž je přípravek Xyndari podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře.