18 Οκτωβρίου 2019
EMA/521995/2019
EMEA/H/C/004734

Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Xyndari (γλουταμίνη)

Η Emmaus Medical Europe Ltd απέσυρε την αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Xyndari για τη θεραπεία της δρεπανοκυτταρικής αναιμίας.

Η εταιρεία απέσυρε την αίτηση στις 18 Σεπτεμβρίου 2019.

Τι είναι το Xyndari και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Xyndari αναπτύχθηκε ως φαρμακευτικό προϊόν για τη δρεπανοκυτταρική αναιμία, μια γενετική νόσο στην οποία τα ερυθρά αιμοσφαίρια καθίστανται σκληρά και αποκτούν μηνοειδές σχήμα. Τα μη φυσιολογικά κύτταρα αναστέλλουν τη ροή του αίματος στον οργανισμό και αποδεσμεύουν στο αίμα αιμοσφαιρίνη (η πρωτεΐνη που μεταφέρει οξυγόνο)προκαλώντας πόνο, βλάβη σε όργανα, επαναλαμβανόμενες λοιμώξεις και αναιμία (χαμηλά επίπεδα αιμοσφαιρίνης).

Το Xyndari περιέχει τη δραστική ουσία γλουταμίνη και επρόκειτο να διατίθεται σε μορφή κονίας που διαλύεται σε υγρό και χορηγείται από το στόμα. Η γλουταμίνη είναι μια δραστική ουσία η οποία περιέχεται σε διάφορα φαρμακευτικά προϊόντα που χρησιμοποιούνται στην παρεντερική σίτιση (θρεπτικές ουσίες χορηγούμενες στάγδην μέσα σε φλέβα).

Το Xyndari χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χορηγείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 4 Ιουλίου 2012 για τη δρεπανοκυτταρική αναιμία. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση:ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011.

Πώς δρα το Xyndari;

Ο μηχανισμός με τον οποίο η δραστική ουσία που περιέχεται στο Xyndari, η γλουταμίνη, λειτουργεί στη δρεπανοκυτταρική αναιμία δεν είναι πλήρως γνωστός. Μελέτες υποδεικνύουν ότι όταν στη δρεπανοκυτταρική αναιμία απορροφάται από τα μη φυσιολογικά ερυθρά αιμοσφαίρια, η γλουταμίνη διαθέτει αντιοξειδωτική δράση (απομακρύνει μόρια που ονομάζονται ελεύθερες ρίζες οι οποίες καταστρέφουν τα κύτταρα) και μειώνει την προσκολλητικότητα των ερυθρών αιμοσφαιρίων στα τοιχώματα των αιμοφόρων αγγείων. Με τον εν λόγω μηχανισμό αναμενόταν η βελτίωση της ροής τους

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
Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000 An agency of the European Union

© European Medicines Agency, 2019. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

αίματος στα όργανα, μειώνοντας κατά τον τρόπο αυτό τις περιόδους πόνου (οι οποίες αποκαλούνται δρεπανοκυτταρικές κρίσεις) τις οποίες βιώνουν οι ασθενείς με δρεπανοκυτταρική αναιμία.

Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Η εταιρεία παρουσίασε τα αποτελέσματα μιας κύριας μελέτη στην οποία μετείχαν 230 ασθενείς με δρεπανοκυτταρική αναιμία. Χορηγήθηκε στους ασθενείς είτε το Xyndari είτε εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) για ένα έτος. Ο κύριος δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν ο αριθμός των δρεπανοκυτταρικών κρίσεων που βίωσαν οι ασθενείς. Στο πλαίσιο της μελέτης εξετάστηκε επίσης το πόσο συχνά κρίθηκε αναγκαία η νοσηλεία ασθενών λόγω πόνου συνδεόμενου με τη δρεπανοκυτταρική αναιμία. Η εταιρεία υπέβαλε επίσης τα αποτελέσματα μιας υποστηρικτικής μελέτης στην οποία χρησιμοποιήθηκαν παρόμοιοι δείκτες μέτρησης της αποτελεσματικότητας σε 70 ασθενείς οι οποίοι έλαβαν το Xyndari ή εικονικό φάρμακο.

Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;

Η αξιολόγηση είχε ολοκληρωθεί και ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων είχε εισηγηθεί την απόρριψη της αίτησης χορήγησης άδειας κυκλοφορίας, η οποία κατά τη στιγμή της απόσυρσης βρισκόταν στο στάδιο επανεξέτασης κατόπιν αιτήματος της εταιρείας. Η εταιρεία απέσυρε την αίτηση προτού ολοκληρωθεί η διαδικασία επανεξέτασης και εκδώσει η Ευρωπαϊκή Επιτροπή απόφαση σχετικά με τη σύσταση του Οργανισμού.

Ποια ήταν η σύσταση του Οργανισμού τη δεδομένη χρονική στιγμή;

Βάσει της εξέτασης των υποβληθέντων στοιχείων, τη στιγμή της απόσυρσης ο Οργανισμός είχε εισηγηθεί την απόρριψη της αίτησης χορήγησης άδειας κυκλοφορίας στο Xyndari για τη θεραπεία της δρεπανοκυτταρικής αναιμίας.

Ο Οργανισμός έκρινε ότι η κύρια μελέτη δεν κατέδειξε ότι το Xyndari ήταν αποτελεσματικό στη μείωση του αριθμού των δρεπανοκυτταρικών κρίσεων ή της συχνότητας νοσηλείας. Μεγάλος αριθμός ασθενών, εκ των οποίων το μεγαλύτερο ποσοστό λάμβανε το Xyndari αντί του εικονικού φαρμάκου, εγκατέλειψαν τη μελέτη προτού ολοκληρωθεί και δεν υπάρχουν διαθέσιμα στοιχεία σχετικά με τη δράση του φαρμακευτικού προϊόντος στους εν λόγω ασθενείς. Ο Οργανισμός έκρινε ότι ο χειρισμός των στοιχείων που αφορούν τους εν λόγω ασθενείς δεν ήταν κατάλληλος.

Ο Οργανισμός διατύπωσε επίσης ανησυχίες σχετικά με την υποστηρικτική μελέτη, στην οποία μετείχε μικρός αριθμός ασθενών, εκ των οποίων πολλοί εγκατέλειψαν πρόωρα τη μελέτη. Επιπροσθέτως, στο πλαίσιο της ίδια μελέτης, περισσότεροι ασθενείς που έλαβαν το Xyndari συγκριτικά με όσους έλαβαν εικονικό φάρμακο είχαν λάβει ένα φαρμακευτικό προϊόν για τη δρεπανοκυτταρική αναιμία που ονομάζεται υδροξυουρία. Το γεγονός αυτό ενδέχεται να επηρέασε τα αποτελέσματα.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι η εταιρεία δεν είχε διευθετήσει πλήρως τις ανησυχίες του και ότι τα οφέλη του Xyndari δεν είχαν καταδειχθεί.

Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;

Στην επιστολή της με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση της αίτησης, η εταιρεία δήλωσε ότι αποφάσισε να αποσύρει την αίτηση λόγω αλλαγής της εταιρικής στρατηγικής.

Επηρεάζει η απόσυρση της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν πραγματοποιούνται επί του παρόντος κλινικές δοκιμές με το Xyndari στην Ευρώπη. Η εταιρεία θα συνεχίσει να εφαρμόζει τα τρέχοντα προγράμματα παρηγορητικής χρήσης, εν αναμονή συζητήσεων με τις εθνικές αρχές που έχουν ήδη χορηγήσει έγκριση για παρηγορητική χρήση.

Εάν συμμετέχετε σε πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, επικοινωνήστε με τον γιατρό σας.