



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 de octubre de 2019
EMA/521995/2019
EMA/H/C/004734

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Xyndari (glutamina)

Emmaus Medical Europe Ltd retiró su solicitud de autorización de comercialización de Xyndari para el tratamiento de la anemia drepanocítica.

La empresa retiró la solicitud el 18 de septiembre de 2019.

¿Qué es Xyndari y a qué uso estaba destinado?

Xyndari se desarrolló como medicamento para el tratamiento de la anemia falciforme, una enfermedad genética en la que los glóbulos rojos se vuelven rígidos y adoptan la forma de una media luna. Los glóbulos rojos anormales bloquean el flujo de sangre por todo el organismo y liberan hemoglobina (la proteína que transporta el oxígeno) a la sangre. Esto provoca dolor, daños en los órganos, infecciones de repetición y anemia (niveles bajos de hemoglobina).

Xyndari contiene el principio activo glutamina y estaba prevista su comercialización en forma de polvo para disolución en un líquido y administración por vía oral. La glutamina es el principio activo de varios medicamentos utilizados para nutrición parenteral (administración de nutrientes mediante goteo en una vena).

Xyndari fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 4 de julio de 2012 para la anemia drepanocítica. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011.

¿Cómo actúa Xyndari?

No se conoce bien el mecanismo de acción del principio activo de Xyndari, la glutamina, en la anemia drepanocítica. Los estudios indican que cuando es captada por los glóbulos rojos anormales presentes en la anemia drepanocítica, la glutamina tiene un efecto antioxidante (elimina unas moléculas llamadas radicales libres que dañan las células) y reduce la adherencia de las células sanguíneas a las paredes de los vasos sanguíneos. Se esperaba que esto mejorase el flujo sanguíneo a los órganos, reduciendo

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



así los episodios de dolor (denominados crisis drepanocíticas) experimentados en la anemia drepanocítica.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

La empresa presentó los resultados de un estudio principal en el que participaron 230 pacientes con anemia drepanocítica. Los pacientes recibieron Xyndari o placebo (un tratamiento ficticio) durante un año. El criterio principal de valoración de la eficacia fue el número de crisis drepanocíticas experimentadas por los pacientes. En el estudio también se examinó la frecuencia con que los pacientes tenían que acudir al hospital con dolor ocasionado por la anemia drepanocítica. La empresa presentó también los resultados de un estudio de apoyo en el que se utilizaron medidas de la eficacia similares y en que participaron 70 pacientes que recibieron Xyndari o placebo.

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La evaluación había concluido y la Agencia Europea de Medicamentos había recomendado denegar la autorización de comercialización, que estaba siendo objeto de revisión a petición de la empresa en el momento de la retirada. La empresa retiró la solicitud antes de que la revisión hubiera concluido y antes de que la Comisión Europea se hubiera pronunciado sobre la recomendación de la Agencia.

¿Qué recomendaba la Agencia en ese momento?

Estudiada la documentación, en el momento de la retirada la Agencia estimaba que se debía denegar la autorización de comercialización de Xyndari para el tratamiento de la anemia drepanocítica.

La Agencia consideraba que el estudio principal no demostraba que Xyndari fuera eficaz para reducir el número de crisis drepanocíticas o de visitas al hospital. Un gran número de pacientes, de los cuales había más que tomaban Xyndari que de los que recibían placebo, abandonaron el estudio antes de que finalizara, y no se disponía de información sobre el efecto del medicamento en esos pacientes. La Agencia consideró que la forma en que se trataron los datos de estos pacientes no era adecuada.

La Agencia también tenía reservas acerca del estudio de apoyo, en el que participó un número reducido de pacientes, muchos de los cuales también se retiraron prematuramente del estudio. Además, en este estudio, había más pacientes tratados con Xyndari que pacientes tratados con placebo que habían recibido un medicamento para la anemia drepanocítica llamado hidroxycarbamida. Esto podría haber influido en los resultados.

Por consiguiente, en el momento de la retirada, la Agencia estimaba que la empresa no había respondido debidamente a sus reservas y que no habían quedado suficientemente demostrados los beneficios de Xyndari.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

En el [escrito](#) en el que notificaba a la Agencia la retirada de su solicitud, la empresa declaró que la retirada se hacía por un cambio en la estrategia comercial de la empresa.

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?

La empresa informó al CHMP de que no hay ningún ensayo clínico en curso con Xyndari en Europa. La empresa continuará con sus programas de uso compasivo en curso a la espera de los debates con las autoridades nacionales que han concedido la autorización para uso compasivo.

Si participa usted en un programa de uso compasivo y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con su médico.