



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Müügiloa taotluse tagasivõtmise teave: Xyndari (glutamiin)

Emmaus Medical Europe Ltd võttis tagasi ravimi Xyndari müügiloa taotluse. Ravim oli näidustatud sirprakkaiguse raviks.

Ettevõtte võttis taotluse tagasi 18. septembril 2019.

Mis on Xyndari ja milleks kavatseti seda kasutada?

Xyndari töötati välja sirprakkaiguse ravimina. Sirprakkaigus on geneetiline haigus, mille korral vere punalibled muutuvad jäigaks ja poolkuukujuliseks. Ebanormaalsed rakud takistavad verevoolu organismis ja vabastavad verre hemoglobiini (hapniku kandurvalk). See põhjustab valu, elundikahjustust, korduvaid infektsioone ja aneemiat (vere väike hemoglobiinisaldus).

Xyndari sisaldab toimeainena glutamiini ja seda kavatseti turustada vedelikus lahustatava ja suu kaudu manustatava pulbrina. Glutamiin on mitme parenteraalseks toitmiseks (toitainete manustamine veeniinfusioonina) kasutatava ravimi toimeaine.

Xyndari nimetati 4. juulil 2012 sirprakkaiguse harvikravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011.

Kuidas Xyndari toimib?

Xyndari toimeaine glutamiini toimemehhanism sirprakkaiguse korral ei ole selge. Uuringutes on täheldatud, et sirprakkaiguse korral haaravad ebanormaalsed vere punalibled endasse glutamiini, mis toimib antioksidandina (eemaldab rakke kahjustavad teatud tüüpi molekulid, mida nimetatakse vabadeks radikaalideks) ning vähendab vererakkude kleepumist veresoonte seinte külge. Eeldatavalt parandab see verevoolu elunditesse, vähendades seega sirprakkaigusega kaasnevate valuperioodide (sirprak-kriiside) arvu.

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



Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas tulemused põhiuuringust, milles osales 230 sirprakkaigusega patsienti. Patsiendid kasutasid kas Xyndarit või platseebot (näiv ravim) ühe aasta jooksul. Efektiivsuse põhinäitaja oli patsientidel esinenud sirprak-kriiside arv. Samuti uuriti, kui sageli pidid patsiendid sirprakkaigusest põhjustatud valu tõttu haiglasse pöörduma. Ettevõtte esitas andmed ka sarnaste efektiivsusnäitajatega toetavast uuringust, milles osales 70 patsienti, kes kasutasid kas Xyndarit või platseebot.

Mis järgus oli müügiloa taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Hindamine oli lõppenud ja Euroopa Raviamet oli soovitanud keelduda müügiloa andmisest, mis oli ettevõtte taotluse taastlõpvaatamisel müügiloa taotluse tagasivõtmise ajal. Ettevõtte võttis taotluse tagasi enne taastlõpvaatamise lõppemist ja enne seda, kui Euroopa Komisjon tegi arvamuse kohta otsuse.

Mis oli sel ajal ameti soovitus?

Tuginedes esitatud andmete analüüsile, oli amet taotluse tagasivõtmise ajal arvamusel, et ravimile Xyndari müügiloa andmisest sirprakkaiguse raviks tuleb keelduda.

Amet oli arvamusel, et põhiuuringuga ei tõendatud Xyndari efektiivsust sirprak-kriiside või haiglaviiside arvu vähendamisel. Palju patsiente (kelle seas Xyndarit kasutanud patsiente oli rohkem kui platseebot kasutanud patsiente) lahkus uuringust enne selle lõppu ning teave ravimi toime kohta nendel patsientidel ei olnud kättesaadav. Amet oli arvamusel, et nende patsientide andmeid ei käsitletud asjakohasel viisil.

Samuti väljendas amet ettevaatlikkust toetava uuringu suhtes, kus osales vähe patsiente, kellest paljud lahkusid samuti uuringust enneaegselt. Peale selle oli Xyndari patsiendirühmas võrreldes platseeborühmaga rohkem neid patsiente, kes olid kasutanud hüdroksüureat (samuti sirprakkaiguse ravim). See võis mõjutada tulemusi.

Seetõttu oli amet müügiloa taotluse tagasivõtmise ajal arvamusel, et ettevõtte ei olnud ameti ettevaatlikkuse põhjuseid piisavalt käsitletud ja et ravimi Xyndari kasulikkus ei olnud tõendatud.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Ettevõtte [kirjas](#), milles ta teatab Euroopa Raviametile oma taotluse tagasivõtmisest, märgib ettevõtte, et võttis taotluse tagasi ettevõtte turundusstrateegia muutumise tõttu.

Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas ametile, et Euroopas Xyndari kliinilisi uuringuid praegu ei toimu. Ettevõtte jätkab eriloaga kasutamise programme seni, kuni kestavad arutelud riiklike asutustega, kes on eriloaga kasutamise programmid heaks kiitnud.

Kui osalete eriloaga kasutamise programmis ja vajate ravi kohta lisateavet, pöörduge palun arsti poole, kes teile ravi määrab.