



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Xyndaria (glutamiini) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Emmaus Medical Europe Ltd peruutti sirppisolusairauden hoitoon tarkoitettua lääkevalmistetta Xyndaria koskevan myyntilupahakemuksensa.

Yhtiö peruutti hakemuksen 18. syyskuuta 2019.

Mitä Xyndari on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Xyndari kehitettiin lääkkeeksi sirppisolusairauden hoitoon. Tämä on geneettinen sairaus, jossa veren punasolut muuttuvat jäykiksi ja muodoltaan sirppimäisiksi. Poikkeavat solut estävät verenvirtauksen elimistössä ja vapauttavat hemoglobiinia (happea kuljettavaa proteiinia) vereen. Tämä johtaa kipuun, elinvaurioihin, toistuviin infektioihin ja anemiaan (hemoglobiinin alhainen pitoisuus).

Xyndarin vaikuttava aine on glutamiini, ja sitä oli tarkoitus olla saatavana jauheena, joka liuotetaan nesteeseen ja otetaan suun kautta. Glutamiini on vaikuttava aine useissa lääkkeissä, joita käytetään parenteraalisessa ravitsemuksessa (ravintoaineet annetaan tiputuksena laskimoon).

Xyndari nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 4. heinäkuuta 2012 sirppisolusairauden hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011.

Miten Xyndari vaikuttaa?

Xyndarin vaikuttavan aineen glutamiinin vaikutustapaa sirppisolusairauden hoidossa ei tunneta hyvin. Tutkimukset viittaavat siihen, että sirppisolusairaudesta johtuvissa poikkeavissa punasoluissa glutamiinilla on antioksidanttinen vaikutus (poistaa molekyylijä nimeltä vapaat radikaalit, jotka vaurioittavat soluja), ja että se vähentää verisolujen tarttumista verisuonten seinämiin. Tämän odotettiin parantavan verenvirtausta elimiin vähentäen siten kipujaksoja ("sirppisolukriisejä"), joita sirppisolusairaudessa esiintyy.

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



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö on esittänyt tulokset päätutkimuksesta, johon osallistui 230 sirppisolusairautta sairastavaa potilasta. Potilaille annettiin joko Xyndaria tai lumelääkettä vuoden ajan. Tehon pääasiallisena mittana oli potilaiden kokemien sirppisolukriisien määrä. Tutkimuksessa tarkasteltiin myös sitä, kuinka usein potilas joutui sairaalahoitoon sirppisolusairaudesta johtuvan kivun takia. Yhtiö toimitti myös tulokset tukea antavasta tutkimuksesta, jossa käytettiin samanlaista tehon mittaa 70 potilaalla, joille annettiin joko Xyndaria tai lumelääkettä.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Arviointi oli saatu päätökseen, ja Euroopan lääkevirasto oli suositellut myyntiluvan epäämistä. Tämä lausunto oli uudelleenarvioitavana yhtiön pyynnöstä, kun hakemus peruutettiin. Yhtiö peruutti hakemuksen ennen kuin uudelleenarviointi oli saatu päätökseen ja ennen kuin Euroopan komissio oli tehnyt viraston suosituksesta päätöksen.

Mitä virasto suositteli tuolloin?

Virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana saamiensa tietojen tarkastelun perusteella, että Xyndarin myyntilupa sirppisolusairauden hoitoon pitäisi evätä.

Virasto katsoi, että päätutkimus ei osoittanut, että Xyndari vähentäisi tehokkaasti sirppisolukriisien tai sairaalakäyntien määrää. Suuri määrä potilaita, joista useampi otti Xyndaria kuin lumelääkettä, keskeytti osallistumisensa ennen tutkimuksen päättymistä, eikä tietoja ollut saatavilla siitä, miten lääke toimi näillä potilailla. Virasto katsoi, että tapa, jolla näiden potilaiden tietoja käsiteltiin, ei ollut asianmukainen.

Virasto oli huolissaan myös tukea antavasta tutkimuksesta, johon osallistui pieni määrä potilaita. Myös näistä potilaista moni keskeytti osallistumisensa tutkimukseen varhaisessa vaiheessa. Lisäksi tässä tutkimuksessa useampi Xyndaria ottaneista kuin lumelääkettä ottaneista oli saanut sirppisolusairauslääkettä nimeltä hydroksiurea. Tämä saattoi vaikuttaa tuloksiin.

Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei yhtiö ollut käsitellyt huolenaiheita kattavasti eikä Xyndarin hyötyä voitu osoittaa.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jolla yhtiö ilmoitti virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että peruuttaminen perustuu yhtiön markkinointistrategian muutokseen.

Vaikuttaako tämä hakemuksen peruuttaminen kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, ettei Xyndaria koskevia kliinisiä tutkimuksia ole käynnissä Euroopassa. Yhtiö jatkaa meneillään olevia erityiskäyttöohjelmiaan niin pitkään kuin käydään keskusteluja niiden kansallisten viranomaisten kanssa, jotka ovat antaneet hyväksynnän erityisluvallista käyttöä varten.

Jos olet mukana erityiskäyttöohjelmassa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä lääkäriisi.