



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

A Xyndari-ra (glutamin) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

Az Emmaus Medical Europe Ltd visszavonta a sarlósejtes vérszegénység kezelésére szánt Xyndari-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

A vállalat 2019. szeptember 18-án vonta vissza a kérelmet.

Milyen típusú gyógyszer a Xyndari és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Xyndari-t a sarlósejtes vérszegénység elleni gyógyszerként fejlesztették ki. A sarlósejtes vérszegénység egy genetikai betegség, amelynél a vörösvértestek merevvé és sarló alakúvá válnak. A kóros sejtek blokkolják a vérkeringést a testben és hemoglobint (az oxigént szállító fehérje) bocsátanak ki a vérbe. Ez fájdalmat, szervkárosodást, ismételt fertőzéseket és vérszegénységet (alacsony hemoglobinszint) eredményez.

A Xyndari hatóanyaga a glutamin és por formájában került volna forgalomba, amelyet folyadékban feloldva, szájon át szántak alkalmazni. A glutamin számos parenterális táplálásra (infúzióban egy vénába adott tápanyagok) használt gyógyszer hatóanyaga.

A Xyndari-t 2012. július 4-én a sarlósejtes vérszegénység tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011.

Hogyan fejti ki hatását a Xyndari?

A Xyndari hatóanyagának, a glutaminnak a hatásmódja sarlósejtes vérszegénységben nem jól ismert. A vizsgálatok arra utalnak, hogy a sarlósejtes vérszegénységben kialakuló, kóros vörösvértestekbe bejutva a glutamin antioxidáns hatással bír (eltávolítja a szabad gyököknek nevezett vegyületeket, amelyek károsítják a sejteket) és mérsékli a vörösvértestek ragadóságát a véresek falához. Ettől azt várták, hogy javítja a szervek vérellátását, ezáltal csökkenti a fájdalommal járó időszakokat (sarlósejtes krízis), amelyek kialakulnak a sarlósejtes vérszegénységben.

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



Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 230 sarlósejtes vérszegénységben szenvedő beteg vett részt. A betegek Xyndari-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelés) kaptak egy éven át. A hatékonyság fő mérőszáma a betegek által tapasztalt sarlósejtes krízisek száma volt. A vizsgálatban azt is értékelték, hogy a betegeknek milyen gyakran kellett a sarlósejtes vérszegénységből eredő fájdalom miatt kórházba menniük. A vállalat továbbá egy alátámasztó vizsgálat eredményeit is benyújtotta, amelyben hasonló mérőszámokat alkalmaztak a hatékonyság tekintetében 70 olyan betegnél, akik Xyndari-t vagy placebót kaptak.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

Az Európai Gyógyszerügynökség befejezte az értékelést, és a forgalombahozatali engedély megtagadását javasolta, amely a vállalat kérésére felülvizsgálat alatt állt a visszavonás időpontjában. Ez a felülvizsgálat még nem fejeződött be, amikor a vállalat visszavonta a kérelmét, és az Európai Bizottság határozatot adott ki az Ügynökség ajánlásáról.

Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok áttekintése alapján az Ügynökség azon a véleményen volt, hogy a sarlósejtes vérszegénység kezelésére szánt Xyndari-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély kiadását el kell utasítani.

Az Ügynökség úgy vélte, hogy a fő vizsgálat nem igazolta, hogy a Xyndari hatékony a sarlósejtes krízisek, illetve a kórházi látogatások számának csökkentésében. Sok beteg (közülük többen szedtek Xyndari-t, mint placebót) lépett ki a vizsgálatból, mielőtt a befejeződött volna, és nem állt rendelkezésre információ arról, hogy a gyógyszernek milyen hatása volt ezeknél a betegeknél. Az Ügynökség úgy ítélte meg, hogy nem volt megfelelő annak módja, ahogy az ezekből a betegekből származó adatokat kezelték.

Az Ügynökség továbbá aggályát fejezte ki az alátámasztó vizsgálatokkal kapcsolatban, amelyben kis számú beteg vett részt, akik közül sokan szintén korán kiléptek a vizsgálatból. Ezenfelül ebben a vizsgálatban több Xyndari-t szedő beteg kapott a sarlósejtes betegség kezelésére szolgáló gyógyszert, hidroxüreát, mint placebót szedő beteg. Ez befolyásolhatta az eredményeket.

Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség véleménye az volt, hogy a vállalat nem kezelte teljes mértékben az aggályait, és a Xyndari előnye nem igazolódott.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy a visszavonás oka a vállalat marketing stratégiájának megváltozása.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a Xyndari-val kapcsolatban Európában nincs folyamatban klinikai vizsgálat. Az engedélyezés előtti alkalmazást engedélyező nemzeti hatóságokkal folytatott megbeszélések függvényében a vállalat folytatja az engedélyezés előtti kezelési programokat.

Ha Ön ilyen engedélyezés előtti kezelési programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.