



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 ta' Ottubru 2019
EMA/521995/2019
EMA/H/C/004734

L-irtirar tal-applikazzjoni għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Xyndari (glutammina)

Emmaus Medical Europe Ltd irtirat l-applikazzjoni tagħha għal awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq ta' Xyndari għall-kura tal-marda taċ-ċelloli sickle.

Il-kumpanija rtirat l-applikazzjoni fit-18 ta' Settembru 2019.

X'inhu Xyndari u għal xiex kien maħsub li jintuża?

Xyndari gie żviluppat bħala medicina għall-marda taċ-ċelloli sickle, marda ġenetika li fiha ċ-ċelloli ħomor tad-demem isiru forma rigida u forma ta' nofs qamar. Iċ-ċelloli anormali jimblokkaw il-fluss tad-demem madwar il-ġisem u jirrilaxxaw l-emoglobina (il-proteina li ġgorr l-ossigenu) fid-demem. Dan iwassal għal uġiġħ, ħsara fl-organi, infezzjonijiet ripetuti u anemija (livelli baxxi ta' emoglobina).

Xyndari fih is-sustanza attiva glutamina u kellu jkun disponibbli bħala trab li jinħall f'likwidu u li jittieħed mill-ħalq. Il-glutammina hija sustanza attiva f'diversi medicini li jintużaw għan-nutrizzjoni parenterali (in-nutrijenti jingħataw permezz ta' dripp ġo vina).

Xyndari kien ikklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina li tintuża f'mard rari) fl-4 ta' Lulju 2012 għal marda taċ-ċelloli sickle. Aktar tagħrif dwar il-klassifikazzjoni orfni jista' jinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011.

Kif jaħdem Xyndari?

Il-mod kif is-sustanza attiva f'Xyndari, il-glutammina, taħdem fil-mard taċ-ċelloli sickle ma jinftiehemx sew. L-istudji jindikaw li meta tittieħed miċ-ċelloli ħomor tad-demem anormali fil-marda taċ-ċelloli sickle, il-glutammina għandha effett ta' antiossidant (tneħħi l-molekuli msejha radikali ħielsa li jagħmlu ħsara liċ-ċelloli) u tnaqqas ir-rigidità taċ-ċelloli tad-demem għall-ħitan tal-važi. Dan kien mistenni li jtejjeb il-fluss tad-demem għall-organi, u b'hekk inaqqas il-perjodi ta' wġiġħ (imsejha krizijiet taċ-ċelloli sickle) esperjenzati bil-marda taċ-ċelloli sickle.

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



X'dokumentazzjoni pprezentat il-kumpanija biex tappoġġja l-applikazzjoni tagħha?

Il-kumpanija pprezentat ir-riżultati ta' studju ewlieni f'230 pazjent b'marda taċ-ċelloli sickle. Il-pazjenti rċevew jew Xyndari jew placebo (kura finta) għal sena. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien in-numru ta' kriżijiet taċ-ċelloli sickle li esperjenzaw il-pazjenti. L-istudju ħares ukoll lejn kemm spiss il-pazjenti kellhom imorru l-isptar b'ugigħ mill-marda taċ-ċelloli sickle. Il-kumpanija ssottomettiet ukoll riżultati ta' studju ta' sostenn bl-użu ta' miżuri simili ta' effikaċja f'70 pazjent li rċevew jew Xyndari jew placebo.

Sa fejn kienet waslet l-evalwazzjoni tal-applikazzjoni qabel ma din giet irtirata?

L-evalwazzjoni kienet intemmet u l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini kienet irrakkomandat li tiġi rrifjutata l-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq, li kienet taħt eżami mill-ġdid fuq talba tal-kumpanija fiż-żmien tal-irtirar. Il-kumpanija rtirat l-applikazzjoni qabel ma ntemm l-eżami mill-ġdid u l-Kummissjoni Ewropea kienet ħarġet deċiżjoni dwar ir-rakkomandazzjoni tal-Aġenzija.

Xi rakkomandat l-Aġenzija dak iż-żmien?

Fuq il-baži tar-reviżjoni tad-data, fiż-żmien tal-irtirar, l-Aġenzija kienet tal-opinjoni li l-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Xyndari għall-kura tal-marda taċ-ċelloli sickle għandha tiġi miċhuda.

L-Aġenzija kkunsidrat li l-istudju ewlieni ma weriex li Xyndari kien effettiv biex inaqqas l-għadd ta' kriżijiet taċ-ċelloli sickle jew żjarat fl-isptarijiet. Għadd kbir ta' pazjenti, li minnhom aktar kienu qed jieħdu Xyndari milli l-placebo, ħarġu mill-istudju qabel ma ntemm, u l-informazzjoni dwar kif il-mediċina ħadmet għal dawn il-pazjenti ma kinitx disponibbli. L-Aġenzija kkunsidrat li l-mod kif giet ittrattata d-data minn dawn il-pazjenti ma kienx xieraq.

L-Aġenzija kellha wkoll tħassib dwar l-istudju ta' sostenn, li kien jinvolvi numru żgħir ta' pazjenti, li ħafna minnhom ukoll ħarġu mill-istudju kmieni. Barra minn hekk, f'dan l-istudju, aktar mill-pazjenti li kienu qed jieħdu Xyndari milli-pazjenti li kienu qed jieħdu l-placebo, kienu rċevew mediċina għall-marda taċ-ċelloli sickle bl-isem ta' hydroxyurea. Dan seta' influwenza r-riżultati.

Għalhekk, fiż-żmien tal-irtirar, l-Aġenzija kienet tal-opinjoni li l-kumpanija ma kinitx indirizzat kompletament it-tħassib tagħha u l-benefiċċji ta' Xyndari ma setgħux jiġu stabbiliti.

X'kienu r-raġunijiet mogħtija mill-kumpanija għall-irtirar tal-applikazzjoni?

Fl-[ittra](#) li bagħtet lill-Aġenzija biex tgħarrafha bl-irtirar tal-applikazzjoni, il-kumpanija sostniet li l-irtirar huwa bbażat fuq bidla fl-istrategija kummerċjali tal-kumpanija.

Dan l-irtirar jaffettwa pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompasjoni?

Il-kumpanija infurmat lill-Aġenzija li ma hemm l-ebda prova klinika għaddejja bħalissa bi Xyndari fl-Ewropa. Il-kumpanija ser tkompli għaddejja bil-programmi ta' użu b'kompasjoni tagħha waqt li għadhom pendenti diskussjonijiet mal-awtoritajiet nazzjonali li taw l-approvazzjoni għall-użu b'kompasjoni.

Jekk inti qed tiegħu sehem fi programm ta' użu b'kompasjoni u teħtieġ aktar informazzjoni dwar il-kura tiegħek, ikkuntattja lit-tabib tiegħek.