



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 octombrie 2019  
EMA/521995/2019  
EMA/H/C/004734

## Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Xyndari (glutamină)

Emmaus Medical Europe Ltd și-a retras cererea de autorizare de punere pe piață pentru Xyndari, pentru tratamentul siclemiei.

Compania și-a retras cererea la 18 septembrie 2019.

### Ce este Xyndari și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Xyndari a fost dezvoltat ca medicament împotriva siclemiei, o boală genetică în care globulele roșii devin rigide și iau formă de semilună. Celulele anormale blochează circulația sângelui în organism și eliberează în sânge hemoglobină (proteina care transportă oxigenul). Aceasta duce la dureri, la leziuni ale organelor, la infecții repetate și la anemie (niveluri scăzute de hemoglobină).

Xyndari conține substanța activă glutamină și urma să fie disponibil sub formă de pulbere pentru dizolvare în lichid și administrare pe cale orală. Glutamina este o substanță activă prezentă în mai multe medicamente utilizate pentru nutriție parenterală (nutrienți administrați prin picurare în venă).

Xyndari a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 4 iulie 2012 pentru siclemie. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011).

### Cum acționează Xyndari?

Modul în care substanța activă din Xyndari, glutamina, acționează în siclemie nu este bine înțeles. Studiile indică faptul că, atunci când este absorbită de globulele roșii anormale caracteristice siclemiei, glutamina are efect antioxidant (elimină moleculele numite radicali liberi care afectează celulele) și reduce aderența globulelor roșii la pereții vaselor de sânge. Se preconiza ca acest lucru va îmbunătăți circulația sângelui către organe, reducându-se astfel perioadele de durere (numite crize siclemice) resimțite în această boală.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?**

Compania a prezentat rezultatele unui studiu principal efectuat pe 230 de pacienți cu siclemie. Pacienții au primit fie Xyndari, fie placebo (un preparat inactiv) timp de un an. Principala măsură a eficacității a fost numărul de crize siclemice suferite de pacienți. Studiul a analizat și cât de des au fost nevoiți pacienții să meargă la spital din cauza durerii provocate de siclemie. Compania a prezentat și rezultatele unui studiu de susținere care a utilizat măsuri ale eficacității similare, efectuat pe 70 de pacienți care au primit fie Xyndari, fie placebo.

## **În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?**

Evaluarea se încheiase, iar Agenția Europeană pentru Medicamente recomandase refuzul autorizației de punere pe piață, care la momentul retragerii era în curs de reexaminare la cererea companiei. Compania și-a retras cererea înainte de finalizarea reexaminării și de emiterea unei decizii de către Comisia Europeană cu privire la recomandarea agenției.

## **Care a fost recomandarea agenției în momentul respectiv?**

Pe baza analizării datelor, în momentul retragerii cererii agenția a considerat că autorizația de punere pe piață pentru Xyndari, pentru tratamentul siclemiei, trebuie refuzată.

Agenția a considerat că studiul principal nu a demonstrat eficacitatea Xyndari în reducerea numărului de crize siclemice sau de vizite la spital. Un număr mare de pacienți, dintre care mai mulți primeau Xyndari decât placebo, s-au retras din studiu înainte de încheierea acestuia și nu au fost disponibile informații privind efectele medicamentului la pacienții respectivi. Agenția a considerat că datele referitoare la acești pacienți au fost gestionate necorespunzător.

De asemenea, agenția avea motive de îngrijorare cu privire la studiul de susținere, la care a participat un număr mic de pacienți dintre care mulți s-au retras într-o fază incipientă. În plus, în cadrul acestui studiu unii pacienți, mai mulți dintre cei care luau Xyndari decât dintre cei care luau placebo, primiseră un medicament împotriva siclemiei numit hidroxiuree. Este posibil ca acesta să fi influențat rezultatele.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia agenției, compania nu soluționase pe deplin motivele sale de îngrijorare, iar beneficiul Xyndari nu fusese demonstrat.

## **Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?**

În [scrisoarea](#) prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că retragerea se datorează unor schimbări în strategia sa de marketing.

## **Retragerea acestei cereri afectează pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?**

Compania a informat agenția că în Europa nu sunt în desfășurare studii clinice cu Xyndari. Compania va continua programele de uz compasional în derulare în așteptarea rezultatului discuțiilor cu autoritățile naționale care au acordat aprobarea pentru uz compasional.

Dacă participați la un program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului.