



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Xyndari (glutamín)

Spoločnosť Emmaus Medical Europe Ltd stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Xyndari na trh, ktorý je určený na liečbu kosáčikovitej anémie.

Spoločnosť stiahla žiadosť 18. septembra 2019.

Čo je Xyndari a aké bolo plánované použitie tohto lieku?

Liek Xyndari bol vyvinutý na liečbu kosáčikovitej anémie. Ide o genetickú chorobu, ktorá spôsobuje nepružnosť červených krviniek a ich sformovanie do kosáčikovitého tvaru. Takéto abnormálne bunky blokujú prietok krvi v tele a uvoľňujú hemoglobín (proteín, ktorý prenáša kyslík) do krvi. To spôsobuje bolesti, poškodenie orgánov, opakované infekcie a anémiu (nízku hladinu hemoglobínu).

Liek Xyndari obsahuje liečivo glutamín a mal byť dostupný vo forme prášku s rozpúšťadlom na perorálne podanie. Glutamín je liečivo, ktoré sa nachádza vo viacerých liekoch určených na parenterálnu výživu (podávanie živín kvapkaním do žily).

Liek Xyndari bol 4. júla 2012 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu kosáčikovitej anémie. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza na webovom sídle agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3121011.

Akým spôsobom liek Xyndari účinkuje?

Spôsob, akým glutamín (liečivo v lieku Xyndari) účinkuje na kosáčikovitú anémiu, nie dostatočne objasnený. Zo štúdií vyplýva, že pri naviazaní na abnormálne červené krvinky pri kosáčikovitej anémii má glutamín antioxidantný účinok (odstraňuje molekuly nazývané voľné radikály, ktoré poškadzujú bunky) a zmierňuje lepivosť krviniek na steny ciev. Na základe toho sa predpokladalo zlepšenie prietoku krvi k orgánom, a tým zmiernenie záchvatov bolesti (tzv. kríz kosáčikovitej anémie), ktoré sprevádzajú kosáčikovitú anémiu.

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



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky hlavnej štúdie s 230 pacientmi s kosáčikovitou anémiou. Pacienti užívali počas jedného roka liek Xyndari alebo placebo (zdanlivý liek). Hlavným meradlom účinnosti bol počet kríz kosáčikovitej anémie zaznamenaných u pacientov. V štúdiu sa zohľadňovalo aj to, ako často museli pacienti pre bolesti spôsobené kosáčikovitou anémiou ísť do zdravotníckeho zariadenia. Spoločnosť predložila aj výsledky podpornej štúdie s podobnými meradlami účinnosti so 70 pacientmi, ktorí užívali liek Xyndari alebo placebo.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Hodnotenie bolo ukončené a Európska agentúra pre lieky odporučila zamietnuť povolenie na uvedenie na trh, pri ktorom na žiadosť spoločnosti v čase stiahnutia žiadosti prebiehalo opakované preskúmanie. Spoločnosť stiahla žiadosť ešte predtým, než bolo ukončené opakované preskúmanie a Európska komisia vydala rozhodnutie na základe odporúčania agentúry.

Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?

Na základe preskúmania údajov agentúra v čase stiahnutia žiadosti zastávala názor, že povolenie na uvedenie lieku Xyndari na trh na liečbu kosáčikovitej anémie by sa malo zamietnuť.

Podľa názoru agentúry sa v hlavnej štúdiu nepreukázalo, že liek Xyndari je účinný pri znižovaní počtu kríz kosáčikovitej anémie či návštev zdravotníckych zariadení. Veľký počet pacientov, z ktorých väčšia časť užívala liek Xyndari a menšia časť placebo, zo štúdie vypadol ešte predtým, než bola ukončená, a informácie o tom, ako na nich liek účinkoval, neboli dostupné. Podľa názoru agentúry sa s údajmi o týchto pacientoch nezaobchádzalo primeraným spôsobom.

Agentúra mala výhrady aj k podpornej štúdiu uskutočnenej na nízkom počte pacientov, z ktorých mnohí takisto zo štúdie predčasne vypadli. Navyše počas tejto štúdie užíval liek hydroxyurea na kosáčikovitou anémiu väčší počet pacientov užívajúcich liek Xyndari v porovnaní s pacientmi užívajúcimi placebo. To mohlo mať vplyv na výsledky.

Agentúra preto v čase stiahnutia žiadosti zastávala názor, že spoločnosť úplne nevyriešila jej výhrady a že prínos lieku Xyndari sa nepreukázal.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že žiadosť sťahuje z dôvodu zmeny v obchodnej stratégii spoločnosti.

Má stiahnutie žiadosti nejaké dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala agentúru, že v Európe neprebiehajú žiadne klinické skúšania lieku Xyndari. Spoločnosť bude pokračovať v prebiehajúcom dialógu o programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch s vnútroštátnymi orgánmi, ktoré schválili použitie lieku v naliehavých prípadoch.

Ak sa zúčastňujete na programe na použitie lieku v naliehavých prípadoch a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho lekára.