



European Medicines Agency

Londýn, 29. června 2006
Dok. č. EMEA/CHMP/220307/2006

**OTÁZKY A ODPOVĚDI TÝKAJÍCÍ SE STAŽENÍ ŽÁDOSTI O VYDÁNÍ ROZHODNUTÍ O
REGISTRACI
přípravku
SURFAXIN**

Účinné látky: sinapultid, dipalmitoylfosfatidylcholin, palmitoyl-oleoyl
fosfatidylglycerol a palmitová kyselina.

Dne 7. června 2006 společnost Pharm Research Associates (UK) Limited oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury, že si přeje stáhnout žádost o vydání rozhodnutí o registraci léčivého přípravku SURFAXIN, který je určen k prevenci a léčbě syndromu dechové tísně (RDS) u předčasně narozených dětí. SURFAXIN byl označen jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění dne 29. července 2004.

<http://www.emea.eu.int/humandocs/PDFs/EPAR/surfaxin/21150506en.pdf>

Co je SURFAXIN?

SURFAXIN je bílá suspenze (tj. roztok, v němž je rozpuštěna účinná látka), který je podáván do plic pomocí trubičky. Účinnými látkami přípravku SURFAXIN jsou sinapultid, dipalmitoylfosfatidylcholin, palmitoyl-oleoyl fosfatidylglycerol a palmitová kyselina. Je dodáván v lahvičce obsahující 8 ml léčiva.

Na co měl být přípravek SURFAXIN používán?

Přípravek SURFAXIN měl být používán k prevenci RDS u nedonošených novorozenců do 32. týdnů gestačního věku (děti narozené osm a více týdnů před termínem) a k léčbě RDS u nedonošených novorozenců do 37. týdnů gestačního věku (děti narozené tři a více týdnů před termínem).

RDS je porucha plic, která způsobuje narůstající potíže s dýcháním. Vyskytuje se zejména u předčasně narozených dětí, přičemž k nástupu potíží s dýcháním dochází v řádu minut až několika hodin po narození. RDS je život ohrožující onemocnění. U dětí je RDS způsoben nedostatkem plicního surfaktantu, což je látka sestávající z bílkoviny a tuku, který se za normálních okolností nachází v plicích a pomáhá snazšímu naplnění plicních sklípků vzduchem. Pravděpodobnost nedostatku surfaktantu je vyšší u nedonošených novorozenců.

Jak měl přípravek SURFAXIN působit?

SURFAXIN je umělý surfaktant, u něhož se očekává, že bude kompenzovat nedostatek přirozeného surfaktantu u dětí s RDS. Obsahuje tukovou složku a syntetickou bílkovinu (sinapultid). Přítomnost syntetické složky brání možným rizikům spojeným s látkou živočišného původu, jako je možnost přenosu infekčních činitelů.

Jakou dokumentaci předložila společnost výboru CHMP na podporu své žádosti?

Účinky přípravku SURFAXIN byly nejprve testovány na experimentálních modelech a teprve poté na lidech.

Společnost předložila zejména výsledky dvou studií týkajících se prevence RDS zahrnujících celkově více než 1 500 nedonošených novorozenců, v nichž byl SURFAXIN srovnáván s dalšími typy surfaktantových činitelů (jeden bez obsahu bílkovinné složky a dva s obsahem bílkoviny živočišného původu). Účinnost byla měřena hodnocením frekvence RDS a mírou přežití se souvisejícím plicním onemocněním (bronchopulmonární dysplazie) nebo bez něho, a to v různých časových bodech.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

V době, kdy společnost svou žádost stáhla, byla žádost ve stádiu hodnocení odpovědi na zbývající otázky, přijaté okolo 180. dne. Výbor CHMP zhodnotil odpovědi společnosti na seznam otázek, ale některé otázky ještě stále zůstávaly nedořešené.

Výbor CHMP obvykle posoudí novou žádost do 210 dní. Na základě zhodnocení výchozí dokumentace výbor CHMP vypracuje seznam otázek (ve 120. den), který je zaslán společnosti. Jakmile společnost dodá odpovědi na otázky, výbor CHMP je zhodnotí a před vydáním stanoviska může společnosti předložit další otázky (kolem 180. dne). Poté, co výbor CHMP vydá své stanovisko, Evropská komise obvykle udělí rozhodnutí o registraci přibližně do dvou měsíců.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

Na základě zhodnocení údajů a odpovědi společnosti na seznam otázek předložený výborem CHMP v době stažení žádosti měl výbor CHMP pochybnosti a jeho prozatímní stanovisko bylo, že SURFAXIN nemůže být schválen k prevenci a léčbě syndromu dechové tísně u předčasně narozených dětí.

Čím byl výbor CHMP nejvíce znepokojen?

Hlavní obava výboru CHMP souvisela s metodou výroby léku, a zejména s jeho stabilitou. Výbor CHMP se dále dotazoval, zda forma a výsledky studií byly dostačující k zajištění toho, že přípravek bude alespoň stejně účinný jako ostatní typy surfaktantových činitelů, které jsou v současné době používány k prevenci RDS. Údaje, které by podpořily indikaci léčby RDS, byly nedostatečné.

V době stažení žádosti proto výbor CHMP zastával prozatímní stanovisko, že přínos přípravku nebyl dostatečně prokázán a nepřevážil možná rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Dopis, v němž Společnost uvědomuje agenturu EMEA o stažení žádosti pro přípravek SURFAXIN, je k dispozici [zde](#).

Jaké důsledky má stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo programů, v nichž je přípravek SURFAXIN podáván v rámci zvláštní léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala agenturu EMEA, že v době stažení žádosti neprobíhaly žádné klinické studie ani programy podávání přípravku SURFAXIN v rámci zvláštní léčby z humánních důvodů.