



European Medicines Agency

London, den 29. juni 2006
Ref.dok. EMEA/CHMP/220307/2006

**SPØRGSMÅL OG SVAR VEDRØRENDE TILBAGETRÆKNING AF ANSØGNINGEN OM
MARKEDSFØRINGSTILLADELSE
for
SURFAXIN**

Aktive stoffer: sinapultid, dipalmitoylphosphatidylcholin, palmitoyllecithin og
palmitinsyre.

Den 7. juni 2006 har Pharm Research Associates (UK) Limited officielt meddelt Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler (CHMP), at firmaet ønsker at trække sin ansøgning om markedsførings-tilladelse tilbage for SURFAXIN til forebyggelse og behandling af besværet vejrtrækning (respiratory distress syndrome, RDS) hos for tidligt fødte børn. SURFAXIN blev udpeget som lægemiddel til sjældne sygdomme den 29. juli 2004.

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

Hvad er SURFAXIN?

SURFAXIN er en hvid suspension (dvs. en opløsning, hvori det aktive stof er opslæmmet), der indgives i lungerne gennem en sonde. De aktive stoffer i SURFAXIN er sinapultid, dipalmitoylphosphatidylcholin, palmitoyllecithin og palmitinsyre. Det leveres i hætteglas indeholdende 8 ml af lægemidlet.

Hvad forventedes SURFAXIN anvendt til?

SURFAXIN forventedes anvendt til forebyggelse af RDS hos nyfødte, der er født før 32. svangerskabsuge (dvs. mindst 8 uger for tidligt), og til behandling af RDS hos nyfødte, der er født før 37. svangerskabsuge (dvs. mindst 3 uger for tidligt).

RDS er en lungesygdom, der medfører besværet vejrtrækning. Den optræder hovedsagelig hos for tidligt fødte børn, hos hvem vejrtrækningsbesværet viser sig i løbet af få minutter til få timer efter fødslen. RDS er en livstruende sygdom. Hos spædbørn skyldes RDS mangel på surfaktant i lungerne; surfaktant er et overfladeaktivt stof, der er sammensat af protein og fedtstof og normalt findes i lungerne, hvor det medvirker til, at lungeblæresækkene let fyldes med luft. For tidligt fødte børn har øget risiko for mangel på surfaktant.

Hvordan forventes SURFAXIN at virke?

SURFAXIN er et kunstigt surfaktant, der forventes at kompensere for det manglende naturlige surfaktant hos spædbørn med RDS. Det indeholder fedtstoffer og et syntetisk protein (sinapultid). Ved at anvende et syntetisk indholdsstof undgår man de risici, der kan være forbundet med stoffer af animalsk oprindelse, således mulig overførsel af smitstoffer.

Hvilken dokumentation har firmaet fremlagt i forbindelse med ansøgningen til CHMP?

Virkningerne af SURFAXIN er først testet i forsøgsmodeller, inden de er undersøgt hos mennesker.

Firmaet har først og fremmest fremlagt resultaterne af to undersøgelser vedrørende forebyggelse af RDS, hvori der indgik over 1 500 for tidligt fødte nyfødte, og hvor SURFAXIN blev sammenlignet med andre overfladeaktive stoffer (af hvilke det ene er uden proteinkomponent, og de to andre indeholder protein af animalsk oprindelse). Virkningen blev målt ved registrering af hyppigheden af RDS og overlevelse med og uden tilknyttet lungesygdom ("bronkopulmonal dysplasi"), til forskellige tidspunkter.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

På tilbagetrækningstidspunktet var man i færd med at gennemgå besvarelsen af de udestående spørgsmål, som var opstillet omkring dag 180. Efter at CHMP havde vurderet firmaets besvarelse af en række spørgsmål, tilbagestod der fortsat uafklarede punkter.

CHMP er normalt indtil 210 dage om at vurdere en ny ansøgning. Efter gennemgang af den indledende dokumentation opstiller CHMP en række spørgsmål (på dag 120), der forelægges firmaet. Når firmaet har besvaret spørgsmålene, gennemgår CHMP besvarelsen og kan, inden det afgiver en udtalelse, stille eventuelle supplerende spørgsmål (omkring dag 180) til firmaet. Efter at CHMP har afgivet sin udtalelse, er Europa-Kommissionen sædvanligvis ca. to måneder om at udstede tilladelsen.

Hvad anbefalede CHMP på dette tidspunkt?

Efter gennemgang af de foreliggende oplysninger og firmaets besvarelse af CHMPs spørgsmål var der i CHMP betænkelighed, og udvalgets foreløbige standpunkt var, at SURFAXIN ikke kunne godkendes til forebyggelse og behandling af besværet vejrtrækning (RDS) hos for tidligt fødte børn.

Hvori bestod CHMPs vigtigste betænkeligheder?

CHMPs betænkeligheder vedrørte først og fremmest den måde, lægemidlet fremstilles på, og navnlig lægemidlets holdbarhed. CHMP fandt det stadig tvivlsomt, om undersøgelserne ved deres tilrettelæggelse og resultater på fyldestgørende måde dokumenterer, at produktet er mindst lige så sikkert og effektivt som andre overfladeaktive stoffer, der i dag anvendes til forebyggelse af RDS. Oplysningerne til støtte for indikationen behandling af RDS er ikke tilstrækkelige.

På tilbagetrækningstidspunktet var det derfor udvalgets opfattelse, at fordelene ikke er tilfredsstillende påvist og ikke opvejer de fundne risici.

Hvilke grunde angav firmaet for tilbagetrækningen af ansøgningen?

Firmaets brev til EMEA med meddelelsen om tilbagetrækningen for SURFAXIN kan ses [her](#).

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser med SURFAXIN eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Firmaet har til EMEA oplyst, at der på tilbagetrækningstidspunktet ikke var nogen igangværende kliniske undersøgelser med SURFAXIN eller programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse.