



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24. března 2017
EMA/188385/2017
EMA/H/C/004100

Otázky a odpovědi

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Blectifor (kofein citrát)

Dne 9. března 2017 společnost Viridian Pharma Ltd oficiálně oznámila Výboru pro humánní léčivé přípravky (CHMP), že se rozhodla stáhnout svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Blectifor určeného k prevenci bronchopulmonární dysplazie.

Co je Blectifor?

Blectifor je léčivý přípravek, který obsahuje léčivou látku kofein citrát. Měl být k dispozici ve formě injekčního roztoku, který lze rovněž podat ústy.

K čemu měl být přípravek Blectifor používán?

Přípravek Blectifor měl být používán k prevenci bronchopulmonární dysplazie, což je onemocnění plic postihující předčasně narozené děti, které byly na dlouhodobé umělé plicní ventilaci (s použitím přístroje, který dodává kyslík na podporu dýchání). U těchto dětí může kontinuální vysoký tlak a vysoká koncentrace kyslíku dodávaného prostřednictvím mechanické ventilace způsobit zánět a poranění plic a zabránit normálnímu vývoji plicních sklípků (vzdušných váčků v plicích). To vede k potížím s dýcháním a špatnému růstu a později v životě může tato porucha způsobit časté infekce dýchacích cest a dlouhodobé potíže s plicemi.

Přípravek Blectifor byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 11. dubna 2014. Přípravek měl být určen k prevenci bronchopulmonární dysplazie. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete [zde](#).

Jak přípravek Blectifor působí?

Léčivá látka v přípravku Blectifor, kofein citrát, je stimulant nervové soustavy a v současné době je v EU registrován jako přípravek Peyona určený k léčbě poruchy dýchání zvané primární apnoe u



předčasně narozených dětí. V rámci prevence bronchopulmonální dysplazie se předpokládá, že kofein citrát bude působit především prostřednictvím stimulace části mozku, která kontroluje dýchání, což by mělo pomoci dětem, aby dýchaly samy, a zkrátit dobu strávenou na umělé plicní ventilaci. Kromě toho, kofein citrát může mít i další účinky na plíce, jako je například zmírnění zánětu, u něhož se očekává, že zabrání poškození, které vede k bronchopulmonální dysplazii.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila údaje z publikované vědecké literatury týkající se především použití kofein citrátu v léčbě primární apnoe u předčasně narozených dětí. Několik článků poskytlo rovněž údaje o rozvoji bronchopulmonální dysplazie u těchto pacientů.

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

Žádost byla stažena poté, co výbor CHMP posoudil výchozí dokumentaci předloženou společností a vypracoval seznam otázek. V době stažení žádosti nebyly tyto otázky společností ještě zodpovězeny.

Jaké bylo doporučení výboru CHMP v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů měl výbor CHMP v době stažení žádosti řadu pochybností a jeho prozatímní stanovisko bylo, že na základě údajů předložených společností nemůže být přípravek Blectifor schválen k prevenci bronchopulmonární dysplazie.

Výbor usoudil, že role kofein citrátu v prevenci onemocnění nebyla dostatečně prokázána a že nebylo možné vyvodit žádný konečný závěr ohledně účinku kofein citrátu v prevenci bronchopulmonální dysplazie. Kromě toho nebyla navrhovaná indikace podporována na základě předložené literatury a charakterizace cílové populace nebyla považována za dostatečnou.

Další pochybností byla skutečnost, že žadatel neprokázal takzvané dobře zavedené léčebné použití (systematické a dokumentované používání v EU po dobu více než 10 let) kofein citrátu v prevenci bronchopulmonální dysplazie. Navíc zařízení určené pro testování stability přípravku Blectifor nebylo certifikováno v souladu s pravidly správné výrobní praxe (SVP).

Výbor CHMP proto v době stažení žádosti zastával názor, že společnost neposkytla dostatek údajů na podporu své žádosti o registraci přípravku Blectifor.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém dopise, v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že žádost stahuje z obchodních důvodů.

Tento dopis je k dispozici [zde](#).