



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kysymyksiä ja vastauksia

Blectifor-lääkevalmistetta (kofeiinisitraatti) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Viridian Pharma Ltd ilmoitti 9. maaliskuuta 2017 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP) haluavansa peruuttaa bronkopulmonaalisen dysplasian ehkäisemiseen tarkoitettua Blectifor-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa.

Mitä Blectifor on?

Blectifor on lääkevalmiste, jonka vaikuttava aine on kofeiinisitraatti. Sen oli tarkoitus olla saatavana injektionesteenä, liuoksena, jota voi antaa myös suun kautta.

Mihin Blectifor-valmistetta oli tarkoitus käyttää?

Blectifor-valmistetta oli tarkoitus käyttää bronkopulmonaalisen dysplasian ehkäisemiseen. Se on keuhkosairaus, jota sairastavat pitkään hengityskoneessa (laite, jolla annetaan happea hengityksen tueksi) olleet keskoslapset. Näillä keskosilla hengityskoneella annetun hapen jatkuva suuri paine ja pitoisuus saattavat aiheuttaa tulehduksia ja vammoja keuhkoissa sekä estää keuhkorakkuloiden normaalia kehittymistä. Tämä aiheuttaa hengitysvaikeuksia ja kasvun hidastumista sekä voi johtaa myöhemmässä iässä toistuviin hengitystieinfektioihin ja pitkäaikaisiin keuhko-ongelmiin.

Blectifor nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 11. huhtikuuta 2014 bronkopulmonaalisen dysplasian ehkäisemistä varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [tässä](#).

Miten Blectifor vaikuttaa?

Blectiforin vaikuttava aine on kofeiinisitraatti. Se on hermoston stimulantti, jolla on tällä hetkellä myyntilupa EU:n alueella Peyona-nimisenä valmisteena erään keskosten hengityshäiriön eli primaaristen hengityskatkosten hoitoon. Bronkopulmonaalisen dysplasian ehkäisemisessä



kofeiinisitraatin odotetaan toimivan pääasiassa stimuloimalla sitä aivojen osaa, joka hallitsee hengittämistä. Tämän uskotaan auttavan keskosta hengittämään itse ja lyhentämään hengityskoneessa vietettyä aikaa. Kofeiinisitraatilla voi myös olla muita keuhkovaikutuksia, kuten tulehduksen vähentäminen, joiden odotetaan ehkäisevän bronkopulmonaaliseen dysplasiaan johtavia vaurioita.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tiedot julkaistusta tieteellisesti kirjallisuudesta, joka koski pääasiassa kofeiinisitraatin käyttöä keskosten primaaristen hengityskatkosten hoidossa; useissa artikkeleissa oli myös tietoa bronkopulmonaalisen dysplasian kehittymisestä näillä potilailla.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun lääkevalmistekomitea oli arvioinut yhtiön alkuvaiheessa toimittamat asiakirjat ja laatinut luettelon kysymyksistä. Yhtiö ei ollut vielä vastannut näihin kysymyksiin, kun hakemus peruutettiin.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Saamiensa tietojen tarkastelun perusteella lääkevalmistekomitealla oli joitakin huolenaiheita ja sen alustava kanta oli, että yhtiön toimittamien tietojen perusteella Blectiforia ei olisi voitu hyväksyä bronkopulmonaalisen dysplasian ehkäisyyn.

Komitea katsoi, että kofeiinisitraatin osuutta sairauden ehkäisyssä ei ollut osoitettu riittävästi eikä lopullista johtopäätöstä kofeiinisitraatin vaikutuksesta bronkopulmonaalisen dysplasian ehkäisyssä voitu vetää. Toimitettu kirjallisuus ei myöskään tukenut ehdotettua käyttöaihetta, ja katsottiin, ettei kohderyhmää ollut luonnehdittu riittävästi.

Toinen huolenaihe oli se, ettei hakija osoittanut kofeiinisitraatin ns. vakiintunutta käyttöä (systemaattinen ja dokumentoitu käyttö EU:ssa yli 10 vuoden ajan) bronkopulmonaalisen dysplasian ehkäisyssä. Lisäksi Blectiforin stabiiliuden testaamiseen nimetty laitos ei ollut sertifioitu hyvien tuotantotapojen mukaisesti.

Siksi lääkevalmistekomitea katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei yhtiö ollut toimittanut riittävästi tietoa Blectiforia koskevan myyntilupahakemuksen tueksi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

Kirjeessään, jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että se tekee niin kaupallisista syistä.

Peruuttamista koskeva kirje on [tässä](#).