



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Kérdések és válaszok

A Blectifor-ra (koffein-citrát) vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2017. március 9-én a Viridian Pharma Ltd hivatalosan értesítette az emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottságát (CHMP), hogy vissza kívánja vonni a bronchopulmonális diszplázia megelőzésére szánt Blectifor-ra vonatkozó forgalomba hozatali engedély iránti kérelmét.

Milyen típusú gyógyszer a Blectifor?

A Blectifor olyan gyógyszer, amely hatóanyagként koffein-citrátot tartalmaz. Oldatos injekcióként került volna forgalomba, amelyet szájon át is be lehet adni.

Milyen alkalmazásra szánták a Blectifor-t?

A Blectifor-t a bronchopulmonális diszplázia megelőzésére szánták. Ez egy tüdőbetegség, amely az olyan koraszülötteknél jelentkezik, akik hosszan tartó gépi lélegeztetésben részesültek (egy olyan gép használatával, amely oxigén biztosít a légzés támogatására). Ezeknél a koraszülötteknél a folyamatos magas nyomás és a gépi lélegeztetés által biztosított oxigén magas koncentrációja a tüdők gyulladását és károsodását okozhatja, és megakadályozhatja az alveolusok (léghólyagocskák a tüdőben) normális kifejlődését. Ez nehézlégzéshez és növekedés elmaradásához vezet, a későbbi életben pedig a légutak gyakori fertőzését és hosszú távú tüdőproblémákat eredményezhet.

A Blectifor-t 2014. április 11-én a bronchopulmonális diszplázia megelőzése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ [itt](#) található.

Hogyan fejti ki hatását a Blectifor?

A Blectifor hatóanyaga, a koffein-citrát, egy idegrendszeri stimuláns és jelenleg Peyona néven engedélyezett az EU-ban a primer apnoé elnevezésű légzési rendellenesség kezelésére



koraszülötteknél. A bronchopulmonális diszplázia megelőzésében a koffein-citrát várhatóan főként azért hat, hogy stimulálja az agyban a légzést szabályozó részét, és úgy gondolják, hogy ez segít a koraszülötteknek maguktól lélegezni, és csökkenteni a gépi lélegeztetésen töltött időt. Ezenfelül a koffein-citrát más hatásokat is kifejthet a tüdőkre (például a gyulladás csökkentése), amelyek várhatóan megakadályozzák a károsodást, amely a bronchopulmonális diszplázia kialakulásához vezet.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat a publikált tudományos szakirodalomból származó adatokat mutatott be főként a koffein-citrátnak koraszülötteknél a primer apnoé kezelésére történő alkalmazásával kapcsolatosan; számos cikkben szerepeltek adatok ezeknél a betegeknél a bronchopulmonális diszplázia kialakulását illetően is.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy a CHMP már értékelte a vállalat által eredetileg benyújtott dokumentációt, és kidolgozott egy kérdéslistát. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt a kérdésekre.

Mit tartalmazott a CHMP ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok értékelése alapján a CHMP részéről több aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a vállalat által benyújtott adatok alapján a Blectifor alkalmazása nem engedélyezhető a bronchopulmonális diszplázia megelőzésére.

A bizottság úgy ítélte meg, hogy nem igazolták kellően a koffein-citrát szerepét a betegség megelőzésében, és a bronchopulmonális diszplázia megelőzésében a koffein-citrát hatására vonatkozóan végleges következtetést nem lehetett levonni. Továbbá a javasolt indikációt nem támasztotta alá a rendelkezésre bocsátott szakirodalom, és a célpopulációt nem karakterizálták kellőképpen.

Egy másik aggály az volt, hogy a kérelmező nem igazolta a koffein-citrát úgynevezett jól megalapozott alkalmazását (rendszeres és dokumentált használat az EU-ban több mint 10 éve) a bronchopulmonális diszplázia megelőzésében. Továbbá a Blectifor stabilitásának vizsgálatára kijelölt létesítmény nem rendelkezett a helyes gyártási gyakorlatnak (GMP) való megfelelésről szóló igazolással.

Ezért a visszavonás időpontjában a CHMP véleménye az volt, hogy a vállalat nem nyújtott be elegendő adatot a Blectifor-ra vonatkozó kérelem alátámasztásához.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő levelében a vállalat azt nyilatkozta, hogy a kérelmét piaci okok miatt vonta vissza.

A visszavonásról szóló levél [itt](#) található.