



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 marzo 2017  
EMA/188385/2017  
EMA/H/C/004100

## Domande e risposte

---

# Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Blectifor (caffeina citrato)

Il 9 marzo 2017, Viridian Pharma Ltd ha notificato ufficialmente al comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) la sua intenzione di ritirare la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Blectifor, per la prevenzione della displasia broncopolmonare.

## Che cos'è Blectifor?

Blectifor è un medicinale contenente il principio attivo caffeina citrato. Avrebbe dovuto essere disponibile come soluzione iniettabile, da poter essere somministrata anche per via orale.

## Per che cosa avrebbe dovuto essere usato Blectifor?

Blectifor avrebbe dovuto essere usato per prevenire la displasia broncopolmonare, una malattia polmonare che colpisce i neonati prematuri attaccati per un periodo prolungato alla ventilazione meccanica (utilizzando un macchinario che eroga ossigeno per sostenere la respirazione). In questi bambini, l'alta pressione continua e l'alta concentrazione dell'ossigeno erogato attraverso la ventilazione meccanica potrebbero causare infiammazioni e lesioni ai polmoni e ostacolare il normale sviluppo degli alveoli (sacche d'aria nei polmoni). Ciò porta a difficoltà di respirazione e scarsa crescita e, successivamente nella vita, può determinare frequenti infezioni delle vie respiratorie e problemi polmonari a lungo termine.

Blectifor è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) l'11 aprile 2014 per la prevenzione della displasia broncopolmonare. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili [qui](#).



## **Come agisce Blectifor?**

Il principio attivo di Blectifor, caffeina citrato, è uno stimolante del sistema nervoso ed è attualmente autorizzato nell'UE come Peyona per il trattamento di un disturbo respiratorio chiamato apnea primaria nei neonati prematuri. Nella prevenzione della displasia broncopolmonare, si prevede che caffeina citrato agisca principalmente stimolando la parte del cervello che controlla la respirazione, che si ritiene aiuti i bambini a respirare da soli e a ridurre il tempo trascorso con il supporto della ventilazione meccanica. Inoltre, la caffeina citrato può anche avere altri effetti nei polmoni, come ad esempio la riduzione dell'infiammazione, che si ritiene prevengano i danni che conducono alla displasia broncopolmonare.

## **Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?**

La ditta ha presentato dati provenienti dalla letteratura scientifica pubblicata principalmente sull'uso di caffeina citrato per il trattamento dell'apnea primaria nei neonati prematuri; diversi articoli hanno inoltre fornito dati sullo sviluppo della displasia broncopolmonare in questi pazienti.

## **A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?**

La domanda è stata ritirata dopo che il CHMP aveva valutato la documentazione iniziale fornita dalla ditta e aveva formulato un elenco di domande. Al momento del ritiro la ditta non aveva ancora risposto alle domande.

## **Qual era la raccomandazione del CHMP a quel punto?**

In base all'esame dei dati, al momento del ritiro della domanda, il CHMP aveva diversi dubbi ed era provvisoriamente del parere che, sulla base dei dati presentati dalla ditta, Blectifor non potesse essere autorizzato per la prevenzione della displasia broncopolmonare.

Il comitato ha ritenuto che il ruolo della caffeina citrato nella prevenzione della malattia non fosse stato sufficientemente dimostrato e che non potesse essere tratta alcuna conclusione definitiva sull'effetto della caffeina citrato per la prevenzione della displasia broncopolmonare. Inoltre, l'indicazione proposta non era supportata dalla letteratura disponibile e la popolazione target è stata ritenuta non sufficientemente caratterizzata.

Un altro dubbio era relativo al fatto che il richiedente non avesse dimostrato il cosiddetto uso consolidato (uso sistematico e documentato nell'UE per più di 10 anni) della caffeina citrato per la prevenzione della displasia broncopolmonare. Inoltre, la struttura designata per testare la stabilità di Blectifor non era certificata come conforme alle buone pratiche di fabbricazione (GMP).

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, il CHMP riteneva che la ditta non avesse fornito dati sufficienti a sostegno della domanda per Blectifor.

## **Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?**

Nella lettera con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato di aver deciso di ritirare la domanda per ragioni commerciali.

La lettera di ritiro della domanda è consultabile [qui](#).