



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2017 m. kovo 24 d.
EMA/188385/2017
EMA/H/C/004100

Klausimai ir atsakymai

Paraiškos gauti Blectifor (kofeino citrato) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

2017 m. kovo 9 d. bendrovė „Viridian Pharma Ltd“ oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetui (CHMP) apie savo pageidavimą atsiimti paraišką gauti vaisto Blectifor, skirto bronchų ir plaučių displazijos prevencijai, registracijos pažymėjimą.

Kas yra Blectifor?

Blectifor – tai vaistas, kurio sudėtyje yra veikliosios medžiagos kofeino citrato. Vaistą buvo numatyta tiekti injekcinio tirpalo, kuris taip pat gali būti vartojamas per burną, forma.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti Blectifor?

Blectifor buvo numatyta skirti siekiant išvengti bronchų ir plaučių displazijos – plaučių ligos, kuria serga neišnešioti naujagimiai, kurių plaučiai buvo ilgą laiką dirbtinai ventiliuojami (aparatu, kuriuo tiekama deguonis kvėpavimui palaikyti). Nuolatinis didelis per dirbtinės ventilacijos aparatą tiekiamo deguonies slėgis ir didelė jo koncentracija šiems kūdikiams gali sukelti plaučių uždegimą ir juos pažeisti, o tai gali sutrikdyti normalų alveolių (plaučiuose esančių oro maišelių) vystymąsi. Dėl to kūdikiams pasidaro sunku kvėpuoti ir sutrinka jų augimas, o vėliau gyvenime tai gali lemti dažnas kvėpavimo takų infekcijas ir ilgalaikius plaučių veiklos sutrikimus.

2014 m. balandžio 11 d. Blectifor priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal bronchų ir plaučių displazijos prevencijos indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite [čia](#).

Kaip veikia Blectifor?

Veiklioji Blectifor medžiaga kofeino citratas yra nervinės sistemos stimuliantas ir šiuo metu ES šis vaistas yra įregistruotas pavadinimu Peyona pagal kvėpavimo sutrikimo, vadinamo pirmine neišnešiotų



naujagimių apnėja, gydymo indikaciją. Manoma, kad siekiant išvengti bronchų ir plaučių displazijos vartojamas kofeino citratas turėtų daugiausia veikti stimuliuodamas tą galvos smegenų dalį, kuri kontroliuoja kvėpavimą; dėl šio poveikio kūdikiams turėtų būti lengviau patiems kvėpuoti ir turėtų sutrumpėti laikas, kuri tenka dirbtinai ventiliuoti kūdikio plaučius. Be to, kofeino citratas gali turėti ir kitokį poveikį pacientų plaučiams, pvz., slopinti uždegimą, o tai turėtų padėti išvengti pažeidimų, kurie sukelia bronchų ir plaučių displaziją.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė duomenis iš paskelbtos mokslinės literatūros, daugiausia susijusius su kofeino citrato vartojimu gydant pirminę neišnešiotų naujagimių apnėją; keliuose straipsniuose taip pat buvo pateikta duomenų apie bronchų ir plaučių displazijos vystymąsi šiems pacientams.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai CHMP buvo įvertinęs bendrovės pateiktus pirminius dokumentus ir parengęs klausimų sąrašą. Paraiškos atsiėmimo metu bendrovė dar nebuvo atsakiusi į šiuos klausimus.

Kokia tuo metu buvo CHMP rekomendacija?

Remdamasis peržiūretais duomenimis, paraiškos atsiėmimo metu CHMP dar turėjo abejonių ir buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad, remiantis bendrovės pateiktais duomenimis, Blectifor negali būti registruotas bronchų ir plaučių displazijos prevencijai.

Komitetas laikėsi nuomonės, kad nepakanka duomenų, patvirtinančių kofeino citrato svarbą siekiant išvengti šios ligos, ir kad negalima padaryti galutinių išvadų dėl kofeino citrato poveikio siekiant išvengti bronchų ir plaučių displazijos. Be to, pasiūlyta indikacija nebuvo pagrįsta pateikta literatūra ir nuspręsta, kad tikslinė populiacija buvo nepakankamai išsamiai apibrėžta.

Taip pat abejonių sukėlė tai, kad pareiškėjas nepateikė duomenų, įrodančių vadinamąjį „pripažintą“ kofeino citrato vartojimą (kai vaistas sistemingai vartojamas ES daugiau kaip 10 metų ir tai yra patvirtinta dokumentais) siekiant išvengti bronchų ir plaučių displazijos. Be to, įstaiga, kuri buvo paskirta atlikti Blectifor stabilumo tyrimus, nebuvo sertifikuota kaip atitinkanti gerosios gamybos praktikos reikalavimus.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad kartu su paraiška gauti Blectifor registracijos pažymėjimą bendrovė pateikė nepakankamai duomenų.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Laiške, kuriuo agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė paraišką atsiimanti dėl komercinių priežasčių.

Laišką dėl paraiškos atsiėmimo galima rasti [čia](#).