



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

24 marca 2017 r.  
EMA/188385/2017  
EMA/H/C/004100

## Pytania i odpowiedzi

---

# Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Blectifor (cytrynian kofeiny)

W dniu 9 marca 2017 r. firma Viridian Pharma Ltd powiadomiła Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o zamiarze wycofania wniosku o dopuszczenie do obrotu produktu Blectifor, który miał być stosowany w zapobieganiu dysplazji oskrzelowo-płucnej.

## Co to jest Blectifor?

Blectifor jest lekiem zawierającym substancję czynną cytrynian kofeiny. Lek miał być dostępny w postaci roztworu do wstrzykiwań, który może być także podawany doustnie.

## W jakim celu miał być stosowany produkt Blectifor?

Blectifor miał być stosowany w zapobieganiu dysplazji oskrzelowo-płucnej, choroby płuc występującej u wcześniaków, u których przez długi czas stosowano wentylację mechaniczną (z wykorzystaniem urządzenia dostarczającego tlen w celu wspomaganie oddychania). U tych dzieci ciągłe wysokie ciśnienie i duże stężenie tlenu dostarczanego przez wentylację mechaniczną może wywołać stan zapalny i uszkodzenie płuc oraz uniemożliwić prawidłowy rozwój pęcherzyków płucnych (pęcherzyków powietrznych w płucach). Prowadzi to do trudności z oddychaniem i słabego wzrostu, a w późniejszym okresie życia może wywoływać częste zakażenia dróg oddechowych i długotrwałe dolegliwości ze strony płuc.

W dniu 11 kwietnia 2014 r. lek Blectifor uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w zapobieganiu dysplazji oskrzelowo-płucnej. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć [tutaj](#).



## **Jak działa produkt Blectifor?**

Substancja czynna leku Blectifor, cytrynian kofeiny, pobudza układ nerwowy i jest obecnie dopuszczona do obrotu w UE pod nazwą Peyona w leczeniu zaburzenia oddychania zwanego bezdechem pierwotnym u wcześniaków. Przewiduje się, że w zapobieganiu dysplazji oskrzelowo-płucnej działanie cytrynianu kofeiny będzie polegało głównie na pobudzaniu części mózgu kontrolującej oddychanie, co – jak się uważa – pomoże dzieciom samodzielnie oddychać i skróci czas stosowania wentylacji mechanicznej. Ponadto cytrynian kofeiny może także wykazywać inne działania na płuca, takie jak zmniejszenie stanu zapalnego, co zgodnie z przewidywaniami zapobiegnie uszkodzeniu prowadzącemu do dysplazji oskrzelowo-płucnej.

## **Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?**

Firma przedstawiła dane z opublikowanej literatury naukowej, głównie dotyczące stosowania cytrynianu kofeiny w leczeniu bezdechu pierwotnego u wcześniaków; w kilku artykułach przedstawiono również dane na temat rozwoju dysplazji oskrzelowo-płucnej u tych pacjentów.

## **Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?**

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez CHMP oceny dokumentacji wstępnej przedłożonej przez firmę i sformułowaniu listy pytań. Firma wycofała wniosek jeszcze przed udzieleniem odpowiedzi na pytania.

## **Jakie zalecenia wydał wówczas CHMP?**

W momencie wycofania wniosku CHMP zgłosił pewne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i wstępna opinia wskazywała, że w oparciu o dane przekazane przez firmę produkt Blectifor nie może być zatwierdzony w zapobieganiu dysplazji oskrzelowo-płucnej.

Komitet uznał, że nie udowodniono w wystarczający sposób roli cytrynianu kofeiny w zapobieganiu chorobie i nie można wyciągać ostatecznych wniosków na temat działania cytrynianu kofeiny w zapobieganiu dysplazji oskrzelowo-płucnej. Ponadto proponowane wskazanie nie znalazło potwierdzenia w dostarczonej literaturze, a populację docelową uznano za niewystarczająco opisaną.

Kolejną kwestią był fakt, że wnioskodawca nie udowodnił tak zwanego ugruntowanego zastosowania (systematycznego i udokumentowanego stosowania w UE przez okres dłuższy niż 10 lat) cytrynianu kofeiny w zapobieganiu dysplazji oskrzelowo-płucnej. Ponadto placówka wyznaczona do badania stabilności leku Blectifor nie uzyskała certyfikatu zgodności z dobrą praktyką wytwarzania (GMP).

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem CHMP firma nie dostarczyła wystarczającej ilości danych na poparcie wniosku dotyczącego produktu Blectifor.

## **Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?**

W swoim piśmie powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że wycofała wniosek z powodów komercyjnych.

Pismo powiadamiające o wycofaniu wniosku jest dostępne [tutaj](#).