



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Întrebări și răspunsuri

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Blectifor (citrăt de cafeină)

La 9 martie 2017, Viridian Pharma Ltd a informat oficial Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) că dorește să-și retragă cererea de autorizare de punere pe piață pentru Blectifor, pentru prevenirea displaziei bronhopulmonare.

Ce este Blectifor?

Blectifor este un medicament care conține substanța activă citrat de cafeină. Acesta urma să fie disponibil sub formă de soluție injectabilă, care putea fi administrată și pe cale orală.

Pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze Blectifor?

Blectifor ar fi trebuit să se utilizeze pentru prevenirea displaziei bronhopulmonare, o boală a plămânilor care îi afectează pe nou-născuții prematur la care s-a utilizat ventilația mecanică prelungită (folosirea unui aparat care furnizează oxigen pentru susținerea respirației). La acești nou-născuți, presiunea ridicată continuă și concentrația mare a oxigenului furnizat prin ventilație mecanică pot să cauzeze inflamația și lezarea plămânilor, putând să împiedice dezvoltarea normală a alveolelor (sacii alveolari din plămâni). Acest lucru duce la dificultăți de respirație și la o dezvoltare fizică deficitară, iar ulterior, în timpul vieții, poate avea ca rezultat infecții frecvente ale căilor respiratorii și probleme cronice la plămâni.

Blectifor a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 11 aprilie 2014 pentru prevenirea displaziei bronhopulmonare. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile [aici](#).



Cum acționează Blectifor?

Substanța activă din Blectifor, citratul de cafeină, este un stimulator al sistemului nervos și în prezent este autorizat în UE sub denumirea de Peyona, pentru tratamentul unei tulburări respiratorii numite apnee primară la nou-născuții prematur. Pentru prevenirea displaziei bronhopulmonare, se presupune că citratul de cafeină acționează în principal prin stimularea acelei zone din creier care controlează respirația, ceea ce se consideră că îi ajută pe nou-născuți să respire singuri, reducând astfel timpul petrecut pe ventilație mecanică. În plus, citratul de cafeină poate avea și alte efecte la nivel pulmonar, cum ar fi reducerea inflamației; se consideră că aceste efecte previn leziunile care duc la displazia bronhopulmonară.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat date din literatura științifică de specialitate publicată, în principal cu privire la utilizarea citratului de cafeină pentru tratamentul apneei primare la nou-născuții prematur; de asemenea, mai multe articole au furnizat date privind apariția displaziei bronhopulmonare la acești pacienți.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce CHMP evaluase documentația inițială prezentată de companie și formulase o listă de întrebări. În momentul retragerii cererii, compania nu răspunsese încă la întrebări.

Care a fost recomandarea CHMP în momentul respectiv?

Pe baza analizării datelor, în momentul retragerii cererii, CHMP avea mai multe motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu potrivit căruia Blectifor nu putea fi aprobat pentru prevenirea displaziei bronhopulmonare, pe baza datelor prezentate de companie.

Comitetul a considerat că rolul citratului de cafeină în prevenirea bolii nu a fost demonstrat suficient și că nu poate fi formulată o concluzie clară privind efectul citratului de cafeină în prevenirea displaziei bronhopulmonare. În plus, indicația propusă nu era susținută de literatura de specialitate prezentată și s-a considerat că populația țintă nu este caracterizată suficient.

Un alt motiv de îngrijorare a fost acela că solicitantul nu a demonstrat așa-numita utilizare bine stabilită (utilizarea sistematică și documentată în UE timp de peste 10 ani) a citratului de cafeină pentru prevenirea displaziei bronhopulmonare. În plus, unitatea desemnată pentru testarea stabilității Blectifor nu era certificată pentru respectarea bunelor practici de fabricație (BPF).

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia CHMP, compania nu prezentase suficiente date în sprijinul cererii pentru autorizarea Blectifor.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În scrisoarea prin care înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că și-a retras cererea pentru autorizarea Blectifor din motive comerciale.

Scrisoarea de înștiințare cu privire la retragerea cererii este disponibilă [aici](#).