



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Otázky a odpovede

---

# Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Blectifor (kofeín citrát)

Dňa 9. marca 2017 spoločnosť Viridian Pharma, Ltd. oficiálne oznámila Výboru pre lieky na humánne použitie (CHMP) rozhodnutie stiahnuť svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Blectifor na trh, ktorý sa mal používať na prevenciu bronchopulmonálnej dysplázie.

## Čo je liek Blectifor?

Liek Blectifor obsahuje účinnú látku kofeín citrát. Liek mal byť dostupný vo forme injekčného roztoku, ktorý sa môže podávať aj ústami.

## Aké bolo predpokladané použitie lieku Blectifor?

Liek Blectifor sa mal používať na prevenciu bronchopulmonálnej dysplázie, ochorenia pľúc postihujúceho predčasne narodené deti, ktoré boli dlhší čas na mechanickej ventilácii (použitie prístroja, ktorý dodáva kyslík na podporu dýchania). U týchto detí sústavný vysoký tlak a vysoká koncentrácia kyslíka dodávaného prostredníctvom mechanickej ventilácie môžu spôsobiť zápal a poranenie pľúc a zabrániť normálnemu vývinu alveol (vzduchových mechúrikov v pľúcach). To vedie k ťažkostiam pri dýchaní a spomaleniu rastu a neskôr v živote to môže spôsobovať časté infekcie dýchacích ciest a dlhodobé problémy s pľúcami.

Liek Blectifor bol 11. apríla 2014 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na prevenciu bronchopulmonálnej dysplázie. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza [tu](#).

## Akým spôsobom liek Blectifor účinkuje?

Účinná látka lieku Blectifor, kofeín citrát, je stimulant nervového systému a v súčasnosti je v EÚ povolený pod názvom Peyona na liečbu poruchy dýchania, ktorá sa nazýva primárne apnoe



u predčasne narodených detí. Očakáva sa, že pri prevencii bronchopulmonálnej dysplázie kofeín citrát bude pôsobiť najmä stimuláciou časti mozgu, ktorá riadi dýchanie, čo zrejme deťom pomôže samostatne dýchať a skrátí čas strávený na mechanickej ventilácii. Kofeín citrát môže mať aj ďalšie účinky v pľúcach, ako je zmiernenie zápalu, pričom sa predpokladá, že tieto účinky zabránia poškodeniu, ktoré vedie k bronchopulmonálnej dysplázii.

## **Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?**

Spoločnosť predložila údaje z uverejnenej odbornej literatúry, najmä o používaní kofeín citrátu na liečbu primárneho apnoe u predčasne narodených detí; v niekoľkých článkoch sú tiež uvedené údaje o vzniku bronchopulmonálnej dysplázie u týchto pacientov.

## **V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?**

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako výbor CHMP vyhodnotil pôvodnú dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila, a vypracoval zoznam otázok. Spoločnosť v čase stiahnutia žiadosti ešte neodpovedala na otázky.

## **Aké bolo v tom čase odporúčanie výboru CHMP?**

Na základe preskúmania údajov mal výbor CHMP v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospel k predbežnému stanovisku, že na základe údajov, ktoré spoločnosť predložila, liek Blectifor nemôže byť povolený na prevenciu bronchopulmonálnej dysplázie.

Výbor usúdil, že úloha kofeín citrátu pri prevencii ochorenia sa dostatočne nepreukázala a nemôže sa vyvodiť konečný záver o účinku kofeín citrátu na prevenciu bronchopulmonálnej dysplázie. Okrem toho navrhnutá indikácia nebola podporená predloženou literatúrou a usúdilo sa, že cieľová populácia nebola dostatočne charakterizovaná.

Ďalšia výhrada bola, že žiadateľ nepreukázal takzvané dobre zavedené použitie (systematické a dokumentované používanie v EÚ viac než 10 rokov) kofeín citrátu na prevenciu bronchopulmonálnej dysplázie. Okrem toho zariadenie určené na testovanie stability lieku Blectifor nebolo certifikované ako zodpovedajúce správnej výrobnéj praxi (GMP).

Výbor CHMP preto v čase stiahnutia žiadosti zastával názor, že spoločnosť nepredložila dostatočné údaje na podporu žiadosti pre liek Blectifor.

## **Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?**

Vo svojom liste oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že žiadosť sťahuje z komerčných dôvodov.

List spoločnosti oznamujúci agentúre stiahnutie žiadosti sa nachádza [tu](#).