



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Vprašanja in odgovori

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Blectifor (kofeinijev citrat)

Družba Viridian Pharma Ltd je 9. marca 2017 uradno obvestila Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Blectifor, namenjenim preprečevanju bronhopulmonalne displazije.

Kaj je zdravilo Blectifor?

Blectifor je zdravilo, ki vsebuje zdravilno učinkovino kofeinijev citrat. Na voljo naj bi bilo v obliki raztopine za injiciranje, ki se lahko daje tudi peroralno.

Za kaj naj bi se zdravilo Blectifor uporabljalo?

Zdravilo Blectifor naj bi se uporabljalo za preprečevanje bronhopulmonalne displazije, tj. bolezni pljuč, ki prizadene nedonošenčke, ki so bili na dolgotrajnem mehanskem predihavanju (s pomočjo aparata, ki dovaja kisik in podpira dihanje). Pri teh dojenčkih lahko stalen visok tlak in visoka koncentracija kisika, ki se dovaja z mehanskim predihavanjem, povzročita vnetje in poškodbe pljuč ter preprečita normalen razvoj alveolov (pljučnih mešičkov). To privede do težav z dihanjem in slabe rasti, pozneje v življenju pa lahko povzroča pogoste okužbe dihalnih poti in dolgotrajne težave s pljuči.

Zdravilo Blectifor je bilo dne 11. aprila 2014 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za preprečevanje bronhopulmonalne displazije. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo [tukaj](#).

Kako zdravilo Blectifor deluje?

Zdravilna učinkovina zdravila Blectifor, kofeinijev citrat, je spodbujevalec živčnega sistema in je trenutno odobrena v EU kot zdravilo Peyona, namenjeno zdravljenju motnje dihanja, imenovane primarna apneja pri nedonošenčkih. Pri preprečevanju bronhopulmonalne displazije naj bi kofeinijev



citrat deloval predvsem tako, da naj bi spodbudil del možganov, ki nadzoruje dihanje, kar naj bi dojenčkom pomagalo pri samostojnem dihanju in skrajšalo čas mehanskega predihavanja. Poleg tega ima kofeinijev citrat morda še druge učinke na pljuča, kot je na primer zmanjševanje vnetja, kar naj bi preprečilo poškodbe, ki privedejo do bronhopulmonalne displazije.

Katero dokumentacijo je družba predložila v podporo svoji vlogi?

Družba je predložila podatke iz objavljene znanstvene literature, zlasti o uporabi kofeinijevega citrata za zdravljenje primarne apneje pri nedonošenčkih; podatki o razvoju bronhopulmonalne displazije pri teh bolnikih pa so na voljo v številnih člankih.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je odbor CHMP že ocenil začetno dokumentacijo, ki jo je predložila družba, in oblikoval seznam vprašanj. Družba ob umiku vloge še ni odgovorila na zastavljena vprašanja.

Kakšno je bilo takrat priporočilo odbora CHMP?

Odbor CHMP je na podlagi pregleda podatkov ob umiku vloge izrazil določene zadržke in je začasno menil, da na podlagi podatkov, ki jih je predložila družba, zdravila Blectifor ni mogoče odobriti za preprečevanje bronhopulmonalne displazije.

Odbor je ocenil, da vloga kofeinijevega citrata pri preprečevanju te bolezni ni bila dovolj dokazana in da ni mogoče podati dokončnih zaključkov o učinku kofeinijevega citrata na preprečevanje bronhopulmonalne displazije. Poleg tega predložena literatura predlagane indikacije ne podpira, ciljna populacija pa ni bila zadostno opredeljena.

Nadaljnji pomislek je bil, da predlagatelj ni dokazal t.i. dobro uveljavljene medicinske uporabe (sistematske in dokumentirane uporabe v EU že več kot 10 let) kofeinijevega citrata pri preprečevanju bronhopulmonalne displazije. Poleg tega ustanova, kjer so preskušali stabilnost zdravila Blectifor, ni imela certifikata skladnosti z dobro proizvodno prakso.

Zato je odbor CHMP ob umiku vloge menil, da družba ni predložila zadostnih podatkov v podporo vlogi za zdravilo Blectifor.

Kakšni so bili razlogi družbe za umik vloge?

Družba je v dopisu, s katerim agencijo obvešča o umiku vloge, navedla, da se je za to odločila zaradi poslovnih razlogov.

Dopis o umiku je na voljo [tukaj](#).