



European Medicines Agency

Lontoo 29.6.2006

Asiakirjaviite EMEA/CHMP/220307/2006

TIETOJA PERUUTETUSTA MYYNTILUPAHAKEMUKSESTA
Lääkevalmisteen nimi
SURFAXIN

Vaikuttavat aineet: sinapultidi, dipalmitoyylifosfatidyylikoliini, palmitoyyli-oleyyli fosfatidyyliglyseroli ja palmitiinihappo

Pharm Research Associates (UK) Limited ilmoitti 7. kesäkuuta 2006 virallisesti lääkevalmistekomitealle (CHMP), että se haluaa peruuttaa keskosina syntyvien hengitysvaikeusoireyhtymän (RDS) ehkäisemiseen ja hoitoon tarkoitettua lääkevalmistetta Surfaxinia koskevan myyntilupahakemuksensa. Surfaxin määriteltiin harvinaislääkkeeksi 29. heinäkuuta 2004.

<http://www.emea.eu.int/humandocs/PDFs/EPAR/surfaxin/21150506en.pdf>

Mitä Surfaxin on?

Surfaxin on valkoinen suspensio (eli liuos, jossa vaikuttava aine on liuotettuna), joka annetaan keuhkoihin putken kautta. Surfaxinin vaikuttavat aineet ovat sinapultidi, dipalmitoyylifosfatidyylikoliini, palmitoyyli-oleyyli fosfatidyyliglyseroli ja palmitiinihappo. Sitä on saatavilla ampulleissa, jotka sisältävät 8 ml lääkevalmistetta.

Mihin Surfaxinia oli tarkoitus käyttää?

Surfaxinia oli tarkoitus käyttää RDS:n ehkäisemiseen keskosilla, joiden sikiöikä on alle 32 viikkoa (vähintään 8 viikkoa ennenaikaisesti syntyneillä vauvoilla), ja RDS:n hoitoon keskosilla, joiden sikiöikä on alle 37 viikkoa (vähintään kolme viikkoa ennenaikaisesti syntyneillä vauvoilla).

RDS on keuhkosairaus, joka aiheuttaa hengityksen vaikeutumista. Sitä esiintyy pääasiassa keskosilla, joilla hengitysvaikeudet alkavat muutaman minuutin tai parin tunnin sisällä syntymästä. RDS on hengenvaarallinen sairaus. Vauvoilla RDS:n aiheuttaa keuhkosurfaktantin puuttuminen; keuhkosurfaktantti on keuhkoissa tavallisesti esiintyvä rasva-proteiinikompleksi, joka auttaa keuhkorakkuloita täyttymään ilmalla. Surfaktantin puuttumisen todennäköisyys on suurempi ennenaikaisesti syntyneillä lapsilla.

Miten Surfaxinin odotettiin vaikuttavan?

Surfaxin on keinotekoinen surfaktantti, jonka odotettiin korvaavan luontaisen surfaktantin puuttumisen RDS:ää sairastavilla vauvoilla. Se sisältää rasva-aineita ja synteettistä proteiinia (sinapultidia). Synteettisillä aineksilla ehkäistään eläinperäisiin aineisiin mahdollisesti liittyviä riskejä, kuten tartunnanaiheuttajien mahdollista siirtymistä.

Mitä asiakirjoja yritys on esittänyt lääkevalmistekomitealle hakemuksen tueksi?

Surfaxinin vaikutuksia testattiin ensin koemalleissa ennen kuin kokeita tehtiin ihmisillä.

Yritys esitti pääasiassa kahden RDS:n ehkäisemistä koskeneen tutkimuksen tulokset. Tutkimuksissa oli mukana yhteensä yli 1 500 keskosta, ja niissä verrattiin Surfaxinia muihin

surfactantteihin (joista yhdessä ei ollut lainkaan proteiinia ja kahdessa oli eläinperäistä proteiinia). Tehoa mitattiin tarkastelemalla RDS:n esiintymistä sekä henkiinjäämistä mahdollisen keuhkosairauden (bronkopulmonaalisen dysplasian) jälkeen eri ajankohtina.

Missä vaiheessa hakemuksen arviointi oli peruuttamishetkellä?

Lääkevalmistekomitea oli tarkastamassa 180 päivän kuluessa esitettyihin täydentäviin kysymyksiin annettuja vastauksia, kun yritys peruutti hakemuksen. Kun lääkevalmistekomitea oli tarkastanut yritykselle lähetettyyn kysymysluetteloon annetut vastaukset, epäselvyyksiä oli vielä jäljellä.

Lääkevalmistekomitea arvioi uuden hakemuksen yleensä 210 päivässä. Lääkevalmistekomitea laatii yritykselle lähetettävän kysymysluettelon (120 päivän kuluessa) alkuvaiheessa toimitettujen asiakirjojen tarkastuksen perusteella. Kun yritys on toimittanut vastaukset näihin kysymyksiin, lääkevalmistekomitea tarkastaa vastaukset ja voi esittää niistä yritykselle vielä täydentäviä kysymyksiä (180 päivän kuluessa) ennen lausunnon antamista. Kun lääkevalmistekomitea on antanut lausuntonsa, Euroopan komissio antaa myyntiluvan yleensä noin kahden kuukauden kuluttua.

Mikä oli lääkevalmistekomitean suositus tuolloin?

Saamiensa tietojen ja yrityksen kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella lääkevalmistekomitea suhtautui varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana. Lääkevalmistekomitean väliaikainen lausunto oli, ettei Surfaxinia voi hyväksyä hengitysvaikeusoireyhtymän ehkäisemiseen ja hoitoon keskosilla.

Mitkä olivat lääkevalmistekomitean tärkeimmät huolenaiheet?

Lääkevalmistekomitean tärkein huolenaihe liittyi lääkevalmisteen valmistustapaan ja erityisesti lääkevalmisteen pysyvyyteen. Lääkevalmistekomitea epäili edelleen, riittivätkö tutkimusten suunnitelmat ja tulokset osoittamaan, että tuote olisi vähintään yhtä tehokas ja turvallinen kuin muut surfaktantit, joita käytetään nykyään RDS:n ehkäisemiseen. Tiedot eivät riittäneet tukemaan käyttöä RDS:n hoitoon.

Tämän vuoksi lääkevalmistekomitean väliaikaisena näkemyksenä hakemuksen peruuttamisen ajankohtana oli, että lääkevalmisteesta ei ole osoitettu olevan riittävä hyötyä, eikä hyöty ollut tunnistettuja riskejä merkittävämpi.

Mistä syistä yritys peruutti hakemuksen?

Kirje, jolla yritys ilmoitti EMEAlle Surfaxinia koskeneen hakemuksen peruuttamisesta, on kokonaisuudessaan [tässä](#).

Mitä seurauksia peruutuksesta on potilaille, jotka osallistuvat Surfaxinin klinisiin kokeisiin tai erityiskäyttöohjelmaan?

Yritys ilmoitti virastolle, että myyntilupahakemuksen peruuttamisen ajankohtana ei ollut käynnissä yhtään Surfaxinin klinistä koetta eikä erityiskäyttöohjelmaa.