



European Medicines Agency

Londonas, 2006 m. birželio 29 d.
Dok. Nr. EMEA/CHMP/220307/2006

KLAUSIMAI IR ATSAKYMAI DĖL SURFAXIN REGISTRAVIMO LIUDIJIMO PARAIŠKOS ATSIĖMIMO

Veikliosios medžiagos: sinapultidas, dipalmitoilfosfatidilcholino, palmitoiloleoilfosfatidilglicerolis ir palmitino rūgštis.

2006 m. birželio 7 d. bendrovė Pharm Research Associates (UK) Limited oficialiai pranešė Žmonėms skirtų vaistų komitetui (CHMP), kad pageidauja atsiimti paraišką dėl SURFAXIN registravimo liudijimo. Numatyta indikacija buvo neišnešiotų naujagimių respiracinio distreso sindromo (RDS) gydymas. 2004 m. liepos 29 d. SURFAXIN buvo priskirtas retojo vaisto kategorijai.

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

Kas yra SURFAXIN?

SURFAXIN – tai balta suspensija (tirpalas, kuriame ištirpinta veiklioji medžiaga), kuri per vamzdį leidžiama į plaučius. Preparatė SURFAXIN yra šių veikliųjų medžiagų: sinapultido, dipalmitoilfosfatidilcholino, palmitoiloleoilfosfatidilglicerolio ir palmitino rūgšties. Jis tiekiamas 8 ml buteliukais.

Kokiais atvejais buvo numatyta vartoti SURFAXIN?

SURFAXIN turėjo būti vartojamas mažesnių nei 32 brandos savaitių (daugiau nei 8 savaitėmis per anksti gimusių) neišnešiotų naujagimių RDS prevencijai ir mažesnių nei 37 brandos savaitių (daugiau nei 3 savaitėmis per anksti gimusių) neišnešiotų naujagimių RDS gydymui. RDS yra plaučių funkcijos sutrikimas, kai pasidaro sunku kvėpuoti. Jis dažniausiai pasireiškia neišnešiotiems kūdikiams, kuriems kyla kvėpavimo sutrikimų praėjus keletui minučių iki kelių valandų po gimimo. RDS – tai pavojų gyvybei kelianti liga. Kūdikiams RDS pasireiškia dėl paviršinio aktyvumo medžiagos (proteinų ir riebalų komplekso, kurio paprastai būna plaučiuose ir dėl kurio oro pūslelės lengviau prisipildo oro) stygiaus plaučiuose. Didesnė tikimybė, kad paviršinio aktyvumo medžiagos gali stigti neišnešiotiems naujagimiams.

Kokios tikimasi SURFAXIN veikimo?

SURFAXIN – tai dirbtinė paviršinio aktyvumo medžiaga, kuri turėtų kompensuoti sergančių RDS kūdikių natūralios paviršinio aktyvumo medžiagos stygių. Joje yra riebalų ir sintetinio proteino (sinapultido). Sintetinis proteinas padeda išvengti galimo pavojaus pernešti infekcijos užkratą, naudojant gyvūninės kilmės medžiagas.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė CHMP kartu su paraiška?

SURFAXIN poveikis pirmą kartą buvo išbandytas eksperimentinėmis sąlygomis, o tik paskui buvo tiriamas jo poveikis žmonėms.

Bendrovė iš esmės pateikė dviejų RDS prevencijos tyrimų, kuriose buvo tirta 1500 neišnešiotų naujagimių, rezultatus. Tyrimų metu SURFAXIN buvo lyginamas su kitomis paviršinio aktyvumo medžiagomis (vienoje nebuvo proteino, o kitose dviejose buvo gyvulinės kilmės proteino). Vaisto veiksmingumas buvo vertintas skirtingais laiko tarpais pagal RDS atvejų dažnumą ir kūdikių išgyvenamumą, susijusį arba nesusijusį su plaučių sutrikimu (bronchopulmonarine displazija).

Ar paraiškos nagrinėjimas buvo pasistūmėjęs toli į priekį, kai ji buvo atsiimta?

Tuo metu, kai bendrovė atsiėmė savo paraišką, buvo nagrinėjami atsakymai į klausimus (maždaug 180-ą dieną). Išnagrinėjęs bendrovės atsakymus į pateiktus klausimus, CHMP vis dar turėjo dvejonių.

CHMP paprastai naują paraišką išnagrinėja per ne ilgesnį kaip 210 dienų laikotarpį. Remdamasis dokumentuose pateiktais duomenimis, CHMP parengia klausimų sąrašą (120-ą dieną), kuris išsiunčiamas bendrovei. CHMP išnagrinėja gautus iš bendrovės atsakymus ir, prieš pateikdamas savo nuomonę, gali užduoti jai bet kokius klausimus dėl kylančių neaiškumų (180-ą dieną). Po CHMP nuomonės paskelbimo Europos Komisija registravimo liudijimą paprastai suteikia maždaug per 2 mėnesius.

Kas tuo metu CHMP kėlė didžiausią susirūpinimą?

Remdamasis duomenų ir bendrovės atsakymų CHMP nagrinėjimo išvadomis, paraiškos atsiėmimo metu CHMP dar turėjo abejonių ir buvo priėmęs negalutinę nuomonę, kad SURFAXIN negalėtų būti registruotas neišnešiotų naujagimių respiracinio distreso sindromo prevencijai ir gydymui.

Su kuo siejosi pagrindinės CHMP abejonės?

Pagrindinės CHMP abejonės kilo dėl vaisto gamybos būdo, ypač dėl vaisto stabilumo. CHMP vis dar abejojo, ar tyrimai ir jų rezultatai buvo pakankami, kad būtų įrodyta, jog vaistas bus saugus ir veiksmingas bent jau tokiu pat mastu, kaip kitos RDS prevencijai šiuo metu skirtos paviršinio aktyvumo medžiagos. Duomenys dėl numatytos indikacijos, t. y. RDS prevencijos, buvo nepakankami.

Dėl to paraiškos atsiėmimo metu CHMP laikėsi nuomonės, kad nebuvo pateikta pakankamai įrodymų dėl vaisto naudos, kuri nusvertų kylančią riziką.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

Bendrovės laišką EMEA dėl SURFAXIN paraiškos atsiėmimo galima rasti [čia](#).

Kokios pasekmės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose ir (arba) SURFAXIN naudojimo labdaros tikslu programose?

Bendrovė pranešė EMEA, kad paraiškos atsiėmimo metu nebuvo vykdomi SURFAXIN klinikiniai tyrimai arba naudojimo labdaros tikslu programos.