



**VRAGEN EN ANTWOORDEN INZAKE INTREKKING VAN DE AANVRAAG VAN EEN  
VERGUNNING VOOR HET IN DE HANDEL BRENGEN  
van  
SURFAXIN**

Werkzame stoffen: sinapultide, dipalmitoylfosfatidylcholine, palmitoyloleoylfosfatidylglycerol en palmitinezuur.

Op 7 juni 2006 heeft de firma Pharm Research Associates (UK) Limited het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) officieel op de hoogte gebracht van haar beslissing om haar aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van SURFAXIN in te trekken. SURFAXIN is bedoeld voor de preventie en behandeling van ernstige ademhalingsproblemen ('respiratory distress syndrome', RDS) bij te vroeg geboren baby's. SURFAXIN werd op 29 juli 2004 aangewezen als 'weesgeneesmiddel'.

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

**Wat is SURFAXIN?**

SURFAXIN is een witte suspensie (d.w.z. een oplossing waarin een werkzame stof is opgelost) die via een buisje in de longen moet worden toegediend. De werkzame stoffen van SURFAXIN zijn sinapultide, dipalmitoylfosfatidylcholine, palmitoyloleoylfosfatidylglycerol en palmitinezuur. Het wordt geleverd in een injectieflacon met 8 ml van het geneesmiddel.

**Voor welke behandeling was SURFAXIN bedoeld?**

SURFAXIN zou worden gebruikt ter voorkoming van RDS bij premature neonaten met een zwangerschapsduur van minder dan 32 weken (m.a.w. baby's die 8 weken of meer te vroeg geboren zijn) en voor de behandeling van RDS bij premature neonaten met een zwangerschapsduur van minder dan 37 weken (baby's die 3 weken of meer te vroeg geboren zijn).

RDS is een longaandoening die tot toenemende ademhalingsproblemen leidt. De aandoening komt voornamelijk voor bij te vroeg geboren baby's, bij wie de ademhalingsproblemen binnen minuten tot enkele uren na de geboorte beginnen. RDS is een levensbedreigende ziekte. Bij zuigelingen wordt RDS veroorzaakt door een tekort aan longsurfactant; dit is een complex van eiwit en vet dat normaal gesproken in de longen aanwezig is en ervoor zorgt dat de longblaasjes van de long zich gemakkelijk met lucht kunnen vullen. Bij te vroeg geboren pasgeborenen bestaat een hoger risico op een tekort aan surfactant.

**Hoe werd verwacht dat SURFAXIN zou werken?**

SURFAXIN is een synthetische surfactant dat naar verwachting het tekort aan natuurlijke surfactant bij baby's met RDS zou aanvullen. Het bevat vetbestanddelen en een synthetisch eiwit (sinapultide). De aanwezigheid van een synthetisch bestanddeel voorkomt potentiële risico's die samenhangen met stoffen van dierlijke herkomst, zoals een mogelijke overdracht van infectieuze organismen.

**Welke documentatie heeft de firma als ondersteuning van de aanvraag ingediend?**

De werking van SURFAXIN werd eerst in het laboratorium getest voordat het bij mensen werd onderzocht.

De firma heeft voornamelijk de resultaten van twee studies met betrekking tot het vermijden van RDS gepresenteerd. In deze studies waren in totaal 1500 te vroeg geboren pasgeborenen opgenomen en werd SURFAXIN vergeleken met andere surfactanten (één zonder eiwitcomponent en twee andere met eiwit van dierlijke herkomst). De werkzaamheid werd bepaald door op verschillende tijdstippen te kijken naar de frequentie van RDS en de overleving met of zonder een aan RDS verwante longaandoening ('bronchopulmonale dysplasie').

**In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?**

De aanvraag werd door de firma ingetrokken in de beoordelingsfase van de antwoorden op de aanvullende vragen, ingediend rond dag 180. Nadat het CHMP de antwoorden van de firma op een lijst met vragen had beoordeeld, waren er nog steeds onopgeloste vraagstukken.

Normaal gesproken heeft het CHMP tot 210 dagen nodig om een nieuwe aanvraag te beoordelen. Op basis van de bestudering van de oorspronkelijke documentatie stelt het CHMP een vragenlijst op (op dag 120), die de firma wordt toegestuurd. Het CHMP bestudeert vervolgens de antwoorden van de firma en stelt haar eventuele aanvullende vragen (ongeveer rond dag 180) alvorens een advies uit te brengen. Nadat het CHMP zijn advies heeft uitgebracht, duurt het gewoonlijk ongeveer 2 maanden voordat de Europese Commissie de vergunning verleent.

**Wat was de aanbeveling van het CHMP op dat moment?**

Op basis van de bestudering van de gegevens en het antwoord van de firma op de lijst met vragen van het CHMP, had het CHMP op het ogenblik van de intrekking bedenkingen en was het de voorlopige mening toegedaan dat SURFAXIN niet kon worden goedgekeurd voor de preventie en behandeling van RDS bij te vroeg geboren baby's.

**Wat waren de belangrijkste bedenkingen van het CHMP?**

De belangrijkste bedenking van het CHMP had betrekking op de wijze waarop het geneesmiddel wordt vervaardigd en met name ten aanzien van de stabiliteit van het geneesmiddel. Het CHMP had nog steeds twijfels of de opzet en de resultaten van de studies voldoende waren om vast te stellen of het product ten minste even werkzaam en veilig is als andere surfactanten die momenteel worden gebruikt om RDS te voorkomen. Er waren onvoldoende gegevens die de indicatie voor de behandeling van RDS ondersteunden.

Daarom was het CHMP op het tijdstip van de intrekking de voorlopige mening toegedaan dat het voordeel onvoldoende was aangetoond en niet opwoog tegen de waargenomen risico's.

**Welke redenen gaf de firma op voor het intrekken van de aanvraag?**

De brief van de firma waarin het Geneesmiddelenbureau op de hoogte wordt gesteld van de intrekking van de aanvraag van SURFAXIN kan men [hier](#) vinden.

**Welke gevolgen heeft de intrekking voor patiënten die deelnemen aan klinische studies/programma's voor gebruik in schrijnende gevallen met SURFAXIN?**

De firma heeft het Geneesmiddelenbureau geïnformeerd dat er op het moment van intrekking geen klinische studies of programma's voor gebruik in schrijnende gevallen met SURFAXIN liepen.