



European Medicines Agency

Londyn, 29 czerwca 2006 r.
Nr ref. dok. EMEA/CHMP/220307/2006

**PYTANIA I ODPOWIEDZI DOTYCZĄCE WYCOFANIA WNIOSKU O DOPUSZCZENIE
DO OBROTU
dla preparatu
SURFAXIN**

Substancje czynne: synapultyd, dipalmitoilofosfatydylocholina, palmitoiloleoilofosfatydyloglicerol i kwas palmitynowy.

Dnia 7 czerwca 2006 r. firma Pharm Research Associates (UK) Limited oficjalnie poinformowała Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) o podjęciu decyzji dotyczącej wycofania wniosku o dopuszczenie produktu leczniczego SURFAXIN do obrotu w celu zapobiegania i leczenia zespołu niewydolności oddechowej (RDS) u wcześniaków. Preparat SURFAXIN został oznaczony jako sierocy produkt leczniczy dnia 29 lipca 2004 r.

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

Co to jest SURFAXIN?

Preparat SURFAXIN ma postać białej zawiesiny (czyli roztworu, w którym rozpuszczona jest substancja czynna), podawanej do płuc przez rurkę. Substancjami czynnymi preparatu SURFAXIN są: sinapultyd, dipalmitoilofosfatydylocholina, palmitoiloleoilofosfatydyloglicerol i kwas palmitynowy. Jest on dostarczany we fiolce zawierającej 8 ml produktu leczniczego.

W jakim miał być stosowany SURFAXIN?

Preparat SURFAXIN miał być stosowany w zapobieganiu zespołowi RDS u wcześniaków w wieku poniżej 32 tygodni wieku ciążowego (dzieci urodzone za wcześnie o 8 tygodni lub więcej), a także w leczeniu zespołu RDS u wcześniaków w wieku poniżej 37 tygodni wieku ciążowego (dzieci urodzone za wcześnie o 3 tygodnie lub więcej).

Zespół RDS jest chorobą płuc, która powoduje narastające trudności z oddychaniem. Występuje on głównie u wcześniaków, u których trudności z oddychaniem rozpoczynają się w czasie od kilku minut do kilku godzin po urodzeniu. RDS jest chorobą zagrażającą życiu. U niemowląt zespół RDS jest spowodowany brakiem surfaktantu w płucach – zespołu białek i tłuszczów, który normalnie występuje w płucach i ułatwia pęcherzykom płucnym napęnlanie się powietrzem. Ryzyko braku surfaktantu jest wyższe u wcześniaków.

Jak powinien działać SURFAXIN?

Preparat SURFAXIN jest sztucznym surfaktantem, który powinien wyrównać brak naturalnego surfaktantu u dzieci z zespołem RDS. Zawiera on składniki tłuszczowe oraz syntetyczne białko (synapultyd). Obecność syntetycznego składnika zapobiega potencjalnym zagrożeniom związanym ze stosowaniem substancji pochodzących od zwierząt, takich jak możliwość przeniesienia czynników zakaźnych.

Jaka dokumentacja została przedstawiona przez firmę na poparcie wniosku złożonego do CHMP?

Zanim rozpoczęto badania na ludziach, wpływ preparatu SURFAXIN badano najpierw w modelach eksperymentalnych.

Firma przedstawiła głównie wyniki dwóch badań mających na celu zapobieganie zespołowi RDS z udziałem łącznie ponad 1500 wcześniaków, u których preparat SURFAXIN został porównany z innymi preparatami o charakterze surfaktantów (jednym niezawierającym składnika białkowego i dwoma innymi, które zawierają białko pochodzenia zwierzęcego). Skuteczność była mierzona na podstawie częstości występowania zespołu RDS, przeżycia ze związaną z nim chorobą płuc („dysplazja oskrzelowo-płucna”) lub bez niej, w różnych punktach czasowych.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Firma wycofała wniosek w chwili, gdy był on na etapie odpowiedzi na pozostałe pytania, co ma miejsce około dnia 180. Po dokonaniu przez CHMP oceny odpowiedzi firmy na listę pytań, wciąż pozostawały pewne nierozwiązane kwestie.

CHMP potrzebuje zwykle do 210 dni na ocenę nowego wniosku. Na podstawie przeglądu wstępnej dokumentacji, CHMP przygotowuje listę pytań (w dniu 120.), które są wysyłane do firmy. Po dostarczeniu przez firmę odpowiedzi na te pytania, CHMP dokonuje ich przeglądu i może, przed wydaniem opinii, zadać nowe pytania (w dniu 180.). Po wydaniu opinii przez CHMP Komisja Europejska potrzebuje około 2 miesięcy na wydanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Jakie zalecenie wydał wówczas CHMP?

Na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na pytania CHMP, w momencie wycofania, pojawiły się obawy ze strony CHMP i wstępna opinia wskazywała, że preparat SURFAXIN nie zostanie dopuszczony do zapobiegania i leczenia zespołu niewydolności oddechowej u wcześniaków.

Jakie były główne zastrzeżenia CHMP?

Główne zastrzeżenie CHMP dotyczyło sposobu wytwarzania leku, a w szczególności jego stabilności. CHMP nadal kwestionował fakt, czy projekt i wyniki badań są wystarczające do potwierdzenia, że produkt będzie co najmniej tak samo skuteczny i bezpieczny, jak inne preparaty surfaktantów stosowane obecnie w zapobieganiu zespołowi RDS. Dane na poparcie wskazania dotyczącego leczenia RDS nie były wystarczające.

Dlatego w momencie wycofania opinia CHMP była taka, że nie zostały przedstawione wystarczające korzyści i że nie przeważają one nad rozpoznanymi zagrożeniami.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

Pismo od firmy powiadamiające Agencję o wycofaniu preparatu SURFAXIN dostępne jest [tutaj](#).

Jakie są konsekwencje wycofania wniosku dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych / „programach współczucia” (*compassionate use*) z użyciem preparatu SURFAXIN?

Firma poinformowała EMEA, że w momencie wycofania nie prowadziła żadnego badania klinicznego ani żadnego „programu współczucia” z zastosowaniem preparatu SURFAXIN.