



European Medicines Agency

London, 29. junija 2006
Ref. dok. EMEA/CHMP/220307/2006

VPRAŠANJA IN ODGOVORI GLEDE UMIKA VLOGE ZA DOVOLJENJE ZA PROMET za zdravilo SURFAXIN

Zdravilne učinkovine: sinapultid, dipalmitoil-fosfatidilholin, palmitoil-oleoil
fosfatidilglicerol in palmitinska kislina.

Podjetje Pharm Research Associates (UK) Limited je 7. junija 2006 uradno obvestilo Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP), da želi umakniti vlogo za dovoljenje za promet za zdravilo SURFAXIN, namenjeno preprečevanju in zdravljenju sindroma dihalne stiske (RDS) pri nedonošenčkih. Zdravilo SURFAXIN je bilo določeno kot zdravilo sirota dne 29. julija 2004.

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

Kaj je zdravilo SURFAXIN?

Zdravilo SURFAXIN je bela suspenzija (t.j. raztopina v kateri je raztopljena zdravilna učinkovina) za dovajanje v pljuča s pomočjo tubusa. Zdravilne učinkovine zdravila SURFAXIN so sinapultid, dipalmitoil-fosfatidilholin, palmitoil-oleoil, fosfatidilglicerol in palmitinska kislina. Na voljo je v vialah, ki vsebujejo po 8 ml zdravila.

Za kaj naj bi se zdravilo SURFAXIN uporabljalo?

Zdravilo SURFAXIN naj bi se uporabljalo za preprečevanje sindroma dihalne stiske pri nedonošenčkih gestacijske starosti manj kot 32 tednov (novorojenčki, rojeni 8 ali več tednov prezgodaj) in za zdravljenje sindroma dihalne stiske pri nedonošenčkih gestacijske starosti manj kot 37 tednov (novorojenčki, rojeni 3 ali več tednov prezgodaj).

Sindrom dihalne stiske je pljučna motnja, ki povzroča vedno težje dihanje. Največkrat se pojavi pri nedonošenčkih, pri katerih težave dihanja nastopijo že v nekaj minutah do nekaj urah po rojstvu. Sindrom dihalne stiske je življenjsko nevarna bolezen. Sindrom dihalne stiske pri novorojenčkih je posledica pomanjkanja pljučnega surfaktanta, kompleksa beljakovine in maščobe, ki je običajno prisoten v pljučih in lajša polnjenje pljučnih mešičkov z zrakom. Pri nedonošenčkih je verjetnost pomanjkanja surfaktanta večja.

Kako naj bi zdravilo SURFAXIN delovalo?

Zdravilo SURFAXIN je umetni surfaktant, ki lahko domnevno nadomesti pomanjkanje naravnega surfaktanta pri dojenčkih s sindromom dihalne stiske. Vsebuje maščobne sestavine in sintetično beljakovino (sinapultid). Z uporabo sintetične sestavine se izognemo morebitnemu tveganju, povezanemu z uporabo snovi živalskega porekla, kot je na primer morebiten prenos povzročiteljev okužb.

Katero dokumentacijo je podjetje predložilo CHMP v podporo svoji vlogi?

Učinki zdravila SURFAXIN so bili najprej preizkušeni s pomočjo izkustvenih modelov, nato pa so jih raziskali pri ljudeh.

Podjetje je v glavnem predstavilo rezultate dveh raziskav o preprečevanju sindroma dihalne stiske, ki sta skupno zajemali 1500 nedonošenčkov in v katerih so zdravilo SURFAXIN primerjali z drugimi površinsko aktivnimi sredstvi (eno je bilo brez beljakovinske sestavine, drugi dve pa sta vsebovali beljakovine živalskega porekla). Učinkovitost so merili z opazovanjem pogostosti sindroma dihalne stiske in stopnje preživetja z ali brez povezane pljučne motnje (bronhopulmonarna displazija) v različnih časovnih točkah.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob umiku vloge?

Ko je podjetje vlogo umaknilo, je bila ta na stopnji pregledovanja odgovorov na preostala vprašanja, ki so bili prejeti okoli 180. dne. Ko je CHMP ocenil odgovore podjetja na seznam vprašanj, so nekatera odprta vprašanja ostala nerešena.

CHMP običajno potrebuje do 210 dni za ocenjevanje nove vloge. Na podlagi pregleda začetne dokumentacije CHMP pripravi seznam vprašanj (120. dan), ki ga pošlje podjetju. Ko podjetje pripravi odgovore na vprašanja, jih CHMP pregleda in pred izdajo mnenja lahko zaprosi podjetje še za odgovore na dodatna vprašanja (180. dan). Ko CHMP izda mnenje, Evropska komisija v približno 2 mesecih izda dovoljenje.

Kakšno je bilo takrat mnenje CHMP?

Na podlagi pregleda podatkov in odgovorov podjetja na seznam vprašanj, ki jih je zastavil CHMP, je imel Odbor v času umika vloge zadržke in bil začasnega mnenja, da za zdravilo SURFAXIN ni mogoče odobriti dovoljenja za zdravljenje nedonošenčkov s sindromom dihalne stiske.

Kateri so bili glavni zadržki CHMP?

Glavni zadržki CHMP so bili povezani z načinom izdelave zdravila in še posebej z njegovo stabilnostjo. CHMP je še vedno v dvomih, ali so načrt in rezultati raziskave zadostni, da bi bilo mogoče na njihovi podlagi ugotoviti, ali bo zdravilo vsaj tako učinkovito in varno kot druga površinsko aktivna sredstva, ki se trenutno uporabljajo za preprečevanje sindroma dihalne stiske. Podatki v podporo indikaciji za zdravljenje sindroma dihalne stiske niso bili zadostni.

Zato je bil v času umika Odbor začasnega mnenja, da koristni učinki niso bili zadostno dokazani in niso večji od znanih tveganj.

Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?

Dopis, s katerim je podjetje obvestilo EMEA o umiku zdravila SURFAXIN, je na voljo [tukaj](#).

Kakšne so posledice umika za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preizkušanjih / programih sočutne uporabe zdravila SURFAXIN?

EMA je prejela obvestilo podjetja, da v času umika vloge niso tekla nobena klinična preizkušanja ali programi sočutne uporabe zdravila SURFAXIN.