



European Medicines Agency

London den 29 juni 2006
Ref.dok. EMEA/CHMP/220307/2006

**FRÅGOR OCH SVAR OM ÅTERKALLANDE AV ANSÖKAN OM GODKÄNNANDE FÖR
FÖRSÄLJNING
för
SURFAXIN**

Verksamma beståndsdelar sinapultid, dipalmitylfosfatidylkolin, palmitoylloeylfosfatidylglycerol och palmitinsyra.

Den 7 juni 2006 underrättade Pharm Research Associates (UK) Limited officiellt Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel (CHMP) om att de önskar dra tillbaka sin ansökan om godkännande för försäljning av SURFAXIN för prevention (förebyggande) och behandling av respiratoriskt distressyndrom (RDS) hos prematura (för tidigt födda) spädbarn. SURFAXIN klassificerades som "särsläkemedel" den 29 juli 2004.

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

Vad är SURFAXIN?

SURFAXIN är en vit suspension (d.v.s. en lösning vari den verksamma beståndsdelarna är uppslammad) avsedd att administreras ner i lungorna via en slang. De verksamma beståndsdelarna i SURFAXIN är sinapultid, dipalmitylfosfatidylkolin, palmitoylloeylfosfatidylglycerol och palmitinsyra. Det levereras i en injektionsflaska som innehåller 8 ml läkemedel.

Vad skulle SURFAXIN användas för?

SURFAXIN var tänkt att användas för prevention av RDS hos prematura nyfödda med en gestationsålder under 32 veckor (spädbarn födda minst 8 veckor för tidigt), och för behandling av RDS hos prematura nyfödda med en gestationsålder under 37 veckor (spädbarn födda minst 3 veckor för tidigt).

RDS är en lungsjukdom som leder till tilltagande andningssvårigheter. Den förekommer främst hos prematura spädbarn, där andningssvårigheterna börjar inom några minuter till några timmar från födseln. RDS är en livshotande sjukdom. Hos spädbarn beror RDS på en brist på lungsurfaktant – ett komplex av protein och fett som normalt finns i lungorna och som hjälper lungsäckarna i lungan att lätt blåsas upp med luft. Risken för brist på surfaktant är högre hos prematura nyfödda.

Hur är det tänkt att SURFAXIN ska verka?

SURFAXIN är en konstgjord surfaktant som är tänkt att kompensera för bristen på naturlig surfaktant hos spädbarn med RDS. Det innehåller feta ämnen och ett konstgjort protein (sinapultid). Genom att proteinet är konstgjort förebygger man de potentiella risker som är förenade med ämnen som kommer från djur, till exempel möjlig överföring av smittämnen.

Vilken dokumentation har företaget lämnat till CHMP som stöd för sin ansökan?

Effekterna av SURFAXIN prövades först i experimentella modeller innan studierna gjordes på människa.

Företaget har främst presenterat resultat från två studier av prevention av RDS, där totalt 1 500 prematura nyfödda deltog och där SURFAXIN jämfördes med andra surfaktantmedel (ett utan proteinkomponent och två andra som innehåller protein som härrör från djur). Man mätte effekten genom att titta på frekvensen av RDS och överlevnaden med eller utan relaterad lungsjukdom ("bronkopulmonell dysplasi") vid olika tidpunkter.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

När företaget drog tillbaka ansökan var den på det stadium där CHMP går igenom svaren på de återstående frågor som fastställts runt dag 180. Sedan CHMP hade bedömt företagets svar på en lista med frågor, fanns det fortfarande en del olösta problem kvar.

Det tar normalt sett upp till 210 dagar för CHMP att utvärdera en ny ansökan. CHMP går igenom den första dokumentationen och gör en lista med frågor (dag 120) som skickas till företaget. När företaget har svarat på frågorna går CHMP igenom dessa svar och kan ställa fler frågor (kring dag 180) innan de avger sitt yttrande. Efter CHMP:s yttrande tar det oftast omkring två månader för Europeiska kommissionen att bevilja ett godkännande.

Vad rekommenderade CHMP vid den tidpunkten?

Efter genomgången av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på frågelistan – så långt de hunnit när återkallandet skedde – hyste CHMP vissa betänkligheter och dess preliminära ståndpunkt var att SURFAXIN inte kunde godkännas för prevention och behandling av respiratoriskt distressyndrom hos prematura spädbarn.

Vilka var CHMP:s främsta betänkligheter?

CHMP:s främsta betänklighet var kopplad till den metod som används för att tillverka läkemedlet, och speciellt läkemedlets stabilitet. CHMP ifrågasatte fortfarande huruvida upplägget för och resultaten från studierna var tillräckliga för att slå fast att läkemedlet kommer att vara minst lika effektivt och säkert som andra surfaktantmedel som för närvarande används för att förebygga RDS. De data som stödde indikationen för behandling av RDS var ej tillräckliga.

Vid tidpunkten för återkallandet var därför CHMP:s preliminära uppfattning att nyttan inte hade bevisats tillräckligt och inte uppvägde de identifierade riskerna.

Vilka skäl angav företaget till att återkalla sin ansökan?

Brevet där företaget meddelar EMEA om återkallandet av SURFAXIN finns tillgängligt [här](#).

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar/humanitära program (s.k. compassionate use-program) med SURFAXIN?

Företaget har informerat EMEA om att det vid tidpunkten för återkallandet inte pågick några kliniska prövningar eller några program där SURFAXIN gavs av humanitära skäl.