



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10 ноември 2023 г.
EMA/492147/2023
EMA/H/C/005468

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Vijoice (alpelisib)

На 30 октомври 2023 г. Novartis оттегли заявлението си за разрешение за употреба на Vijoice за лечение на свързан с PIK3CA спектър на свръх растеж (PROS) — генетично заболяване, което причинява редица симптоми, включително малформации и абнормен растеж или тумори, засягащи няколко тъкани, например кожата, костите, кръвоносните съдове и мозъка.

Какво представлява Vijoice и за какво е предназначен да се използва?

Vijoice е разработен като лекарство за лечение на възрастни и деца на възраст над 2 години с тежки или животозастрашаващи симптоми на PROS, изискващи системно лечение (лечение, което засяга цялото тяло).

Vijoice съдържа активното вещество алпелизиб (alpelisib) и е трябвало да се предлага под формата на таблетки, които да се приемат през устата.

Vijoice е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 26 март 2021 г. за лечение на PROS. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите на [уебсайта на Агенцията](#):

Как действа Vijoice?

При пациенти с PROS, мутациите (промените) в ген, наречен *PIK3CA*, водят до активиране на ензим (PI3 киназа), който участва в клетъчния растеж. Това води до абнормен растеж на тъканите (туморите) и малформации.

Активното вещество във Vijoice, алпелизиб, блокира действието на ензима и се очаква да намали симптомите на PROS.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата представя данни от проучване, обхващащо 18 възрастни и 39 деца и юноши с PROS, които са приемали Vijoice в рамките на програма за палиативна употреба. Пациентите са имали тежки или животозастрашаващи симптоми на PROS, изискващи системна терапия. Основната

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



мярка за ефективност е броят на пациентите, при които след 24 седмици на лечение се наблюдава намаляване с най-малко 20 % на общия размер на едно до три абнормни образувания или тумори.

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Заявлението е оттеглено, след като Европейската агенция по лекарствата е оценила информацията, представена от фирмата, и е изготвила въпроси. Към момента на оттеглянето фирмата все още не е отговорила на последната група въпроси.

Какви са препоръките на Агенцията към момента на оттеглянето?

Въз основа на прегледа на данните и отговора на фирмата на първоначалните въпроси на Агенцията, към момента на оттеглянето Агенцията има известни опасения и предварителното ѝ становище е, че Vijoice не може да бъде разрешен за лечение на PROS.

Агенцията счита, че данните от проучването не са достатъчни, за да покажат точно какъв ефект има лекарството върху размера на туморите и дали пациентите действително са се възползвали от каквото и да е намаляване на размера на тумора. Освен това, въпреки че PROS включва различни видове синдроми, ефектът на Vijoice е наблюдаван само при един от тези синдроми. На последно място, дългосрочната безопасност на лекарството, и по-специално неговите ефекти върху растежа и развитието при деца, е неизвестна.

Поради това към момента на оттеглянето становището на Агенцията е, че фирмата не е представила достатъчно данни в подкрепа на заявлението.

Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?

В [писмото](#), с което фирмата уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, се посочва, че се нуждае от повече време, за да получи допълнителни данни в подкрепа на оценката на Vijoice.

Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?

Фирмата е информирала Агенцията, че оттеглянето няма последици за пациентите, участващи в клинични изпитвания или в програми за палиативна употреба/управляем достъп, използващи Vijoice.

Ако участвате в клинично изпитване или програма с милосърдна цел/управляван достъп и се нуждаете от повече информация за вашето лечение, говорете с вашия лекар, провеждащ клиничното изпитване.