



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 май 2023 г.
EMA/271439/2023
EMA/H/C/004867

Отказ за издаване на разрешение за употреба за Sohonos (palovarotene)

Отказът е потвърден след преразглеждането

След като преразглежда първоначалното си становище, Европейската агенция по лекарствата потвърди препоръката за отказ за издаване на разрешение за употреба на Sohonos — лекарство, предназначено за лечение на прогресивна осифицираща фибродисплазия (ПОФ). ПОФ е рядко генетично заболяване, което причинява образуване на допълнителни кости на места извън скелета (процес, наречен хетеротопна осификация), например в ставите, мускулите, сухожилията и връзките, а това води до прогресивно намаляване на подвижността и други тежки увреждания.

Агенцията издаде становището си след преразглеждане на 25 май 2023 г. Първоначалното становище на Агенцията е издадено на 26 януари 2023 г. Фирмата, която е подала заявление за издаване на разрешение за Sohonos, Ipsen Pharma, е поискала преразглеждане на първоначалното становище на ЕМА.

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

Sohonos е предназначен за намаляване на необичайното образуване на кости в ставите, мускулите, сухожилията и връзките при възрастни и деца (на възраст над 8 години при момичета и над 10 години при момчета) с ПОФ. Sohonos съдържа активното вещество паловаротен (palovarotene) и е трябвало да се предлага под формата на капсули, които да се приемат през устата всеки ден.

Sohonos е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 19 ноември 2014 г. за лечение на ПОФ. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-14-1368.

Как действа Sohonos?

Активното вещество в Sohonos, паловаротен, принадлежи към класа лекарства, известни като ретиноиди. Паловаротен се свързва с рецептора на ретиноевата киселина (гама), който се намира в клетките, участващи в образуването на кости. Като се свързва с тези рецептори, лекарството

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



задейства процеси, които намаляват образуването на кости. Очаква се това да облекчи симптомите на заболяването.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата е представила резултати от едно основно проучване при 107 възрастни и деца с ПОФ. Всички участници в проучването приемат Sohonos, а резултатите от проучването са сравнени с резултатите от второ проучване при 114 пациенти с ПОФ, които не са получили лечение.

Основната мярка за ефективност в основното проучване е промяната в количеството на новообразувани хетеротопни осификации при пациентите.

Какви са основните причини за отказа за издаване на разрешение за употреба?

Към момента на първоначалната оценка Агенцията е счела, че не могат да се направят категорични заключения относно ползите от лекарството, тъй като заключението на заявителя се основава на последващ анализ, който не е нито научно, нито клинично обоснован, и не са постигнати предварително определени цели на проучването. Освен това резултатите от другите проучвания и ограничените налични дългосрочни клинични данни не подкрепят ефикасността. По отношение на безопасността, рискът от преждевременно затваряне на физата (смущение в областта на новия растеж на костите в края на дългите кости, което ги възпира от нормално израстване), който е известен риск при ретиноидно лечение при пациенти в процес на растеж, не може да се намали в подходяща степен с мерките за свеждане на риска до минимум, предложени от фирмата. Освен това Агенцията счита, че някои въпроси относно качеството на активното вещество не са разрешени.

Тези опасения не са се променили, след като са преразгледани предоставените данни, и поради това се запазва становището на Агенцията, че качеството, безопасността и ефикасността на Sohonos не са доказани в достатъчна степен. Поради това Агенцията счита, че ползите от Sohonos не превишават рисковете, и препоръчва да бъде отказано разрешение за употреба.

Този отказ засяга ли пациентите, участващи в клинични изпитвания или програми с милосърдна цел?

Фирмата е уведомила Агенцията, че няма последствия за пациентите, включени в клинични изпитвания или в програми с милосърдна цел с Sohonos.

Ако участвате в клинично изпитване или в програма с милосърдна цел и се нуждаете от повече информация за вашето лечение, свържете се с лекаря, който ви го е предписал.