



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 юни 2020 г.
EMA/336104/2020
EMA/H/C/004832

Отказ на разрешение за употреба за Turalio (pexidartinib)

Европейската агенция по лекарствата препоръчва отказ за издаване на разрешение за употреба на Turalio, лекарство, предназначено за лечение на теносиновиален гигантоклетъчен тумор.

Агенцията издава становището си на 25 юни 2020 г. Фирмата, подаде заявление за разрешаване, Daiichi Sankyo Europe GmbH, има право да поиска преразглеждане на становището в срок от 15 дни от неговото получаване.

Какво представлява Turalio и за какво се очаква да се използва?

Turalio е разработен като лекарство за лечение на възрастни с теносиновиален гигантоклетъчен тумор, който може да причини болка и значително да намали физическите функции. Той е предназначен за употреба, когато вече не могат да се използват или са неподходящи други лечения, включително хирургическа операция. Теносиновиалният гигантоклетъчен тумор е нераково състояние, при което тъканта, обграждаща вътрешните повърхности на ставите и сухожилията, наречена синовиална лигавица или синовиум, се разширява необичайно и образува израстъци в и около ставата.

Turalio съдържа активното вещество pexidartinib (пексидартиниб) и се предлага като капсули, които да се приемат през устата.

Turalio е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) на 19 март 2015 г. за лечение на теносиновиален гигантоклетъчен тумор от локализиран и дифузен тип. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457.

Как действа Turalio?

Активното вещество в Turalio, пексидартиниб, действа като блокира рецептор (прицел), наречен CSF1R, с който се свързва протеин, наречен CSF-1. CSF-1 се произвежда в големи количества от теносиновиални гигантоклетъчни тумори и причинява натрупване на имунни клетки, наречени макрофаги, в ставите и причинява израстъци. Като блокира CSF1R, лекарството намалява



активността на CSF-1, като се е очаквало това да предотврати растежа на тумора и да спомогне за намаляване на симптомите на заболяването.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата представя резултати от основно проучване, обхващащо 120 възрастни с напреднал теносиновиален гигантоклетъчен тумор, който не може да бъде лекуван по други начини. То разглежда промяната в размера на тумора след като пациентите са получавали лечение с Turalio или плацебо (сляпо лечение) в продължение на 25 седмици.

Какви са основните причини за отказа на разрешението за употреба?

Агенцията има опасения, че въпреки че в основното проучване се установява, че туморите са се свили при пациентите, лекувани с Turalio, има само малко подобрене на симптомите като болка и способност за използване на ставата. Не е ясно колко време продължава този ефект. Има също така сериозно опасение за непредсказуеми, потенциално животозастрашаващи ефекти на Turalio върху черния дроб.

Поради това становището на Агенцията е, че ползите от Turalio не надвишават рисковете и Агенцията 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 Turalio.

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.