



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10. listopadu 2023
EMA/492147/2023
EMA/H/C/005468

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Vioice (alpelisib)

Dne 30. října 2023 společnost Novartis stáhla svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Vioice určeného k léčbě spektra přerůstání souvisejícího s PIK3CA, což je genetické onemocnění, které způsobuje řadu příznaků, včetně malformací a abnormálních výrůstků nebo nádorů postihujících několik tkání, jako je kůže, kosti, krevní cévy a mozek.

Co je přípravek Vioice a k čemu měl být používán?

Přípravek Vioice byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě dospělých a dětí ve věku od 2 let se závažnými nebo život ohrožujícími příznaky spektra přerůstání souvisejícího s PIK3CA, které vyžadují systémovou léčbu (léčbu zaměřenou na celé tělo).

Přípravek Vioice obsahuje léčivou látku alpelisib a měl být dostupný ve formě tablet užívaných ústy.

Přípravek Vioice byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 26. března 2021. Přípravek měl být určen k léčbě spektra přerůstání souvisejícího s PIK3CA. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách agentury](#).

Jak přípravek Vioice působí?

U pacientů se spektrem přerůstání souvisejícím s PIK3CA vedou mutace (změny) v genu zvaném *PIK3CA* k aktivaci enzymu (PI3 kinázy), který se podílí na růstu buněk. To vede k abnormálnímu růstu tkání (nádorům) a malformacím.

Léčivá látka v přípravku Vioice, alpelisib, blokuje působení tohoto enzymu a očekávalo se, že zmírní příznaky spektra přerůstání souvisejícího s PIK3CA.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila údaje ze studie, do které bylo zařazeno 18 dospělých a 39 dětí a dospívajících se spektrem přerůstání souvisejícím s PIK3CA, kterým byl přípravek Vioice podáván v rámci léčby z humanitních důvodů. Pacienti vykazovali závažné nebo život ohrožující příznaky spektra přerůstání souvisejícího s PIK3CA vyžadující systémovou léčbu. Hlavním měřítkem účinnosti byl počet pacientů,

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



u nichž po 24 týdnech léčby došlo ke zmenšení celkové velikosti jednoho až tří abnormálních výrůstků nebo nádorů o nejméně 20 %.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Žádost byla stažena poté, co Evropská agentura pro léčivé přípravky posoudila informace předložené společností a vypracovala otázky. V době stažení žádosti nebyla poslední sada otázek společností zodpovězena.

Jaké bylo doporučení agentury v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na úvodní otázky agentury měla agentura v době stažení žádosti určité pochybnosti a její prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Vijoice nemůže být schválen k léčbě spektra přerůstání souvisejícího s PIK3CA.

Agentura byla toho názoru, že údaje ze studie nepostačují k tomu, aby přesně prokázaly, jaký účinek má přípravek na velikost nádorů a zda u pacientů skutečně došlo ke snížení jejich velikosti. Navíc přestože spektrum přerůstání související s PIK3CA zahrnuje různé typy syndromů, účinek přípravku Vijoice byl pozorován pouze u jednoho z nich. Dlouhodobá bezpečnost přípravku, zejména jeho vliv na růst a vývoj u dětí, není známa.

Agentura proto v době stažení žádosti zastávala názor, že společnost neposkytla dostatek údajů na podporu své žádosti.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že potřebuje více času k získání dalších údajů na podporu hodnocení přípravku Vijoice.

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Vijoice podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala agenturu, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou zařazeni do klinických studií, do programů, v nichž je přípravek Vijoice podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, nebo do programů řízeného přístupu.

Pokud jste zařazení do klinické studie, do programu, v němž je přípravek Vijoice podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, nebo do programu řízeného přístupu a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.