



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25. května 2023
EMA/271440/2023
EMA/H/C/004867

Zamítnutí registrace přípravku Sohonos (palovaroten)

Přezkoumání potvrdilo zamítnutí registrace.

Po přezkoumání svého původního stanoviska Evropská agentura pro léčivé přípravky potvrdila své doporučení zamítnout registraci přípravku Sohonos, což je léčivý přípravek určený k léčbě progresivní osifikující fibrodysplázie. Progresivní osifikující fibrodysplázie je vzácné genetické onemocnění, které způsobuje tvorbu dalších kostí na místech mimo kostru (proces zvaný heterotopická osifikace), například v kloubech, svalch, šlachách a vazech, což vede k postupnému snižování pohyblivosti a dalším závažným postižením.

Po přezkoumání vydala agentura dne 25. května 2023 své stanovisko. Svě původní stanovisko agentura vydala dne 26. ledna 2023. Společnost, která požádala o registraci přípravku Sohonos, Ipsen Pharma, požádala o přezkoumání původního stanoviska agentury EMA.

Co je přípravek Sohonos a k čemu měl být používán?

Přípravek Sohonos byl určen ke snížení abnormální tvorby kostí v kloubech, svalch, šlachách a vazech u dospělých a dětí (u dívek ve věku od 8 let a u chlapců ve věku od 10 let) s progresivní osifikující fibrodysplázií. Obsahuje léčivou látku palovaroten a měl být dostupný ve formě tobolek určených k užití ústy každý den.

Přípravek Sohonos byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 19. listopadu 2014, a to k léčbě progresivní osifikující fibrodysplázie. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-14-1368.

Jak přípravek Sohonos působí?

Léčivá látka v přípravku Sohonos, palovaroten, patří do skupiny léčiv známých jako retinoidy. Váže se na receptor kyseliny retinové (gamma) přítomný v buňkách, jež se podílejí na tvorbě kostí. Navázáním se na tyto receptory přípravek aktivuje procesy, které snižují tvorbu kostí. Očekávalo se, že tím dojde k úlevě od příznaků onemocnění.

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



© European Medicines Agency, 2023. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky jedné hlavní studie, do které bylo zařazeno 107 dospělých a dětí s progresivní osifikující fibrodysplázií. Všem účastníkům studie byl podáván přípravek Sohonos, přičemž výsledky studie byly porovnány s výsledky druhé studie, do které bylo zařazeno 114 pacientů s progresivní osifikující fibrodysplázií, kteří nepodstoupili žádnou léčbu.

V hlavní studii byla hlavním měřítkem účinnosti změna počtu nově vytvořených heterotopických osifikací u pacientů.

Jaké byly hlavní důvody zamítnutí registrace?

V době výchozího hodnocení agentura dospěla k závěru, že o přínosech tohoto léčivého přípravku nelze vyvodit žádné jednoznačné závěry, neboť závěr žadatele byl založen na *post-hoc* analýze, která nebyla vědecky ani klinicky odůvodněná, a předem stanovené cíle studie nebyly splněny. Účinnost přípravku nepodporovaly ani výsledky z jiných studií, ani omezené dlouhodobé klinické údaje, které byly k dispozici. Pokud jde o bezpečnost, riziko předčasného uzavření fýz (růstových plotének, tedy narušení oblastí růstu nové kosti na konci dlouhých kostí, které kostem brání v normálním růstu), což je známé riziko léčby retinoidy u pacientů v růstu, nebylo možné dostatečně zmírnit opatřeními k minimalizaci rizik navrženými společností. Agentura kromě toho dospěla k závěru, že některé otázky týkající se kvality léčivé látky nebyly vyřešeny.

Tyto obavy se po přezkoumání předložených údajů nezměnily, a agentura proto nadále zastávala názor, že kvalita, bezpečnost a účinnost přípravku Sohonos nebyly dostatečně prokázány. Agentura tudíž dospěla k závěru, že přínosy přípravku Sohonos nepřevyšují jeho rizika, a doporučila registraci zamítnout.

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

Společnost informovala agenturu, že zamítnutí registrace nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou zařazení do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Sohonos podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.

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