



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26. června 2020
EMA/336104/2020
EMA/H/C/004832

Zamítnutí registrace přípravku Turalio (pexidartinibum)

Evropská agentura pro léčivé přípravky doporučila zamítnout registraci přípravku Turalio určeného k léčbě tenosynoviálního obrovskobuněčného tumoru.

Agentura vydala své stanovisko dne 25. června 2020. Společnost Daiichi Sankyo Europe GmbH, která o registraci požádala, může do 15 dnů od obdržení stanoviska požádat o jeho přezkoumání.

Co je přípravek Turalio a k čemu měl být používán?

Přípravek Turalio byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě dospělých s tenosynoviálním obrovskobuněčným tumorem, který může vyvolávat bolest a značně omezovat fyzickou funkci. Měl se používat, když již nelze použít nebo nejsou vhodné jiné způsoby léčby, včetně chirurgického zákroku. Tenosynoviální obrovskobuněčný tumor je nezhoubné onemocnění, při kterém se tkáň obklopující vnitřní povrch kloubu a šlachy, zvaná synoviální výstelka neboli synovie, neobvykle zvětšuje a vytváří v kloubu a jeho okolí výrůstky.

Přípravek Turalio obsahuje léčivou látku pexidartinib a měl být dostupný ve formě tobolek k podávání ústy.

Přípravek Turalio byl označen dne 19. března 2015 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Měl být určen k léčbě tenosynoviálního obrovskobuněčného tumoru v lokalizované nebo difúzní formě. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457.

Jak přípravek Turalio působí?

Léčivá látka v přípravku Turalio, pexidartinib, působí tak, že blokuje receptor (cíl) zvaný CSF1R, na který se váže protein s názvem CSF-1. CSF-1 se ve velkém množství tvoří v tenosynoviálních obrovskobuněčných tumorech a vede k hromadění imunitních buněk zvaných makrofágy v kloubech a k tvorbě výrůstků. Blokováním CSF1R snižuje léčivý přípravek aktivitu CSF-1, což mělo bránit růstu tumoru a pomoci zmírnit příznaky onemocnění.



Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky hlavní studie zahrnující 120 dospělých s pokročilým tenosynoviálním obrovskobuněčným tumorem, který nelze léčit jiným způsobem. Studie hodnotila změnu velikosti tumoru poté, co pacienti po dobu 25 týdnů užívali buď přípravek Turalio, nebo placebo (neúčinný přípravek).

Jaké byly hlavní důvody zamítnutí registrace?

Agentura měla obavy z toho, že přestože ve hlavní studii bylo zjištěno u pacientů léčených přípravkem Turalio zmenšení tumorů, došlo u nich pouze k nepatrnému zmírnění příznaků, jako je bolest nebo schopnost používat kloub. Nebylo jasné, jak dlouho tento účinek přetrvává. Agentura měla také vážné obavy z nepředvídatelných, potenciálně život ohrožujících účinků přípravku Turalio na játra.

Dospěla tudíž k názoru, že přínosy přípravku Turalio nepřevyšují jeho rizika, a doporučila registraci zamítnout.

Má zamítnutí registrace dopad na pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Turalio podáván v rámci léčby z humánních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

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

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