



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Vioice (alpelisib)

Den 30. oktober 2023 trak Novartis sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Vioice tilbage til behandling af PIK3CA-relateret overvækstspektrum (PROS), en genetisk tilstand, der giver en række symptomer, herunder misdannelser og unormal vækst eller tumorer, der påvirker flere forskellige væv såsom hud, knogler, blodkar og hjerne.

Hvad er Vioice, og hvad forventedes det anvendt til?

Vioice blev udviklet som et lægemiddel til behandling af voksne og børn fra 2 år med alvorlige eller livstruende symptomer på PROS, der kræver systemisk behandling (behandling, der påvirker hele kroppen).

Vioice indeholder det aktive stof alpelisib og skulle have været markedsført som tabletter, der tages gennem munden.

Vioice blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 26. marts 2021 til behandling af PROS. Yderligere oplysninger om udpegelsen til lægemiddel til sjældne sygdomme findes på [agenturets websted](#).

Hvordan virker Vioice?

Hos patienter med PROS fører mutationer (ændringer) i genet *PIK3CA* til, at enzymet PI3-kinase, der er involveret i cellevækst, bliver aktiveret. Dette resulterer i unormal vævsvækst (tumorer) og misdannelser.

Det aktive stof i Vioice, alpelisib, blokerer for virkningen af enzymet og forventedes at mindske symptomerne på PROS.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde data fra et studie, der omfattede 18 voksne og 39 børn og unge med PROS, som fik Vioice som led i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse. Patienterne

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



havde alvorlige eller livstruende symptomer på PROS, der krævede systemisk behandling. Virkningen blev hovedsageligt målt på antallet af patienter, hos hvem den samlede størrelse af en til tre abnorme vækster eller tumorer var mindsket med mindst 20 % efter 24 ugers behandling.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at Det Europæiske Lægemiddelagentur havde vurderet den dokumentation, som virksomheden havde fremlagt, og udarbejdet spørgsmål. Virksomheden havde ikke svaret på den sidste spørgsmålsrunde, da ansøgningen blev trukket tilbage.

Hvad anbefalede agenturet på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene og virksomhedens svar på agenturets spørgsmål på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde agenturet visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Vioice ikke kunne være blevet godkendt til behandling af PROS.

Agenturet fandt, at dataene fra studiet ikke var tilstrækkelige til nøjagtigt at vise, hvilken virkning lægemidlet havde på tumorernes størrelse, og om størrelsen af patienternes tumorer reelt blev mindsket. PROS er desuden forbundet med forskellige typer syndromer, men der sås kun en virkning af Vioice for et af disse syndromer. Endelig kendes den langsigtede sikkerhed ved lægemidlet ikke, navnlig dets indvirkning på børns vækst og udvikling.

Derfor var agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at virksomheden ikke havde fremlagt tilstrækkelige oplysninger til at underbygge ansøgningen.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den havde brug for mere tid til at indhente yderligere data til støtte for evalueringen af Vioice.

Har denne tilbagetrækning betydning for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har til agenturet oplyst, at tilbagetrækningen ikke har nogen konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske undersøgelser med Vioice eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse eller kontrolleret adgang.

Hvis du deltager i en klinisk undersøgelse eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse eller kontrolleret adgang og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.