



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25. maj 2023
EMA/271441/2023
EMA/H/C/004867

Afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Sohonos (palovaroten)

Revurdering bekræfter afslag

Efter at have taget sin oprindelige udtalelse op til fornyet overvejelse har Det Europæiske Lægemiddelagentur bekræftet sin anbefaling om at give afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Sohonos, et lægemiddel til behandling af fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP). FOP er en sjælden genetisk sygdom, som bevirker ekstra knogledannelse på steder uden for skelettet (en proces, der kaldes heterotopisk ossifikation), f.eks. i led, muskler, sener og ligamenter, hvilket fører til gradvis forringet mobilitet og andre alvorlige funktionsnedsættelser.

Agenturet fremsatte sin udtalelse den 25. maj 2023 efter at have foretaget en revurdering. Agenturet fremsatte sin oprindelige udtalelse den 26. januar 2023. Virksomheden, der ansøgte om godkendelse af Sohonos, Ipsen Pharma, havde anmodet om en revurdering af EMA's oprindelige udtalelse.

Hvad er Sohonos, og hvad forventedes det anvendt til?

Sohonos var beregnet til at reducere den unormale knogledannelse i led, muskler, sener og ligamenter hos voksne og børn (over 8 år hos piger og over 10 år hos drenge) med FOP. Det indeholder det aktive stof palovaroten og skulle have været markedsført som kapsler til indtagelse gennem munden hver dag.

Sohonos blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 19. november 2014 til behandling af FOP. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes på agenturets websted: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-14-1368.

Hvordan virker Sohonos?

Det aktive stof i Sohonos, palovaroten, tilhører en gruppe lægemidler, der kaldes retinoider. Det binder sig til den retinosyrereceptor (gamma), som findes i celler, der er medvirker til knogledannelse. Ved at binde sig til disse receptorer aktiverer lægemidlet processer, der mindsker knogledannelsen. Dette forventedes at lindre symptomerne på sygdommen.

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.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde resultater fra et hovedstudie, der omfattede 107 voksne og børn med FOP. Alle deltagerne i studiet fik Sohonos, og resultaterne blev sammenlignet med resultaterne af et andet studie, hvori der deltog 114 patienter med FOP, som ikke fik nogen behandling.

Virkningen blev i hovedstudiet hovedsagelig bedømt på ændringen i antallet af nye heterotopiske ossifikationer hos patienterne.

Hvad var hovedårsagerne til at give afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse?

På tidspunktet for den oprindelige vurdering fandt agenturet, at der ikke kunne drages nogen endelige konklusioner om fordelene ved lægemidlet, da ansøgerens konklusion var baseret på en post-hoc-analyse, som hverken var videnskabeligt eller klinisk begrundet, og de forhåndsfastsatte mål med studiet ikke var opfyldt. Desuden understøttede resultaterne fra andre studier og de begrænsede tilgængelige langsigtede kliniske data ikke virkningen. Med hensyn til sikkerheden kunne risikoen for for tidlig vækstpladelukning (en forstyrrelse af områder med ny knogledannelse i enden af lange knogler, som forhindrer dem i at vokse normalt), som er en kendt risiko ved behandling med retinoider hos patienter i voksealderen, ikke i tilstrækkelig grad afbødes med de risikominimeringsforanstaltninger, som virksomheden foreslog. Desuden fandt agenturet, at visse spørgsmål vedrørende kvaliteten af det aktive stof ikke var blevet løst.

Disse betænkeligheder ændrede sig ikke efter en revurdering af de forelagte data, og agenturet var derfor fortsat af den opfattelse, at kvaliteten, sikkerheden og virkningen af Sohonos ikke var blevet tilstrækkeligt påvist. Agenturet fandt derfor, at fordelene ved Sohonos ikke opvejede risiciene, og anbefalede afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse.

Har dette afslag betydning for patienter, der deltager i kliniske studier eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?

Virksomheden har informeret agenturet om, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske studier med Sohonos eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse.

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