



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen von Turalio (Pexidartinib)

Die Europäische Arzneimittel-Agentur hat die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen von Turalio empfohlen. Hierbei handelt es sich um ein Arzneimittel, das zur Behandlung tenosynovialer Riesenzelltumoren angewendet werden sollte.

Die Agentur verabschiedete ihr Gutachten am 25. Juni 2020. Das Unternehmen, das die Zulassung beantragte, Daiichi Sankyo Europe GmbH, kann innerhalb von 15 Tagen nach Erhalt des Gutachtens eine Überprüfung des Gutachtens beantragen.

Was ist Turalio und wofür sollte es angewendet werden?

Turalio wurde als Arzneimittel zur Behandlung von Erwachsenen mit tenosynovialen Riesenzelltumoren entwickelt, der zu Schmerzen und einer deutlich reduzierten körperlichen Funktion führen kann. Es sollte angewendet werden, wenn andere Behandlungen, einschließlich Chirurgie, nicht länger angewendet werden können oder nicht geeignet sind. Der tenosynoviale Riesenzelltumor ist eine nicht-krebsartige Erkrankung, bei der sich das Gewebe, das die inneren Gelenkoberflächen und Sehnen umgibt (sogenannte Synovialhaut oder Gelenkinnenhaut), abnormal ausbreitet und zu Wucherungen im und um das Gelenk führt.

Turalio enthält den Wirkstoff Pexidartinib und sollte als Kapseln zum Einnehmen erhältlich sein.

Turalio wurde am 19. März 2015 als „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) gegen tenosynoviale Riesenzelltumoren, lokalisierte und diffuse Form, ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457.

Wie wirkt Turalio?

Der Wirkstoff von Turalio, Pexidartinib, wirkt, indem er einen Rezeptor (Ziel) namens CSF1R, an den ein Protein mit der Bezeichnung CSF-1 bindet, blockiert. CSF-1 wird von tenosynovialen Riesenzelltumoren in großen Mengen produziert und führt dazu, dass sich als Makrophage bezeichnete Immunzellen in den Gelenken ablagern und zu der Gewebevermehrung führen. Durch das Blockieren



von CSF1R senkt das Arzneimittel die Aktivität von CSF-1, wovon man erwartete, dass es dem Tumorwachstum entgegenwirkt und hilft, die Symptome der Erkrankung zu lindern.

Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Das Unternehmen legte die Ergebnisse einer Hauptstudie unter Beteiligung von 120 Erwachsenen mit fortgeschrittenem tenosynovialen Riesenzelltumor vor, der anderweitig nicht behandelt werden konnte. Die Studie betrachtete die Veränderung der Tumorgroße, nachdem die Patienten 25 Wochen lang entweder Turalio oder Placebo (eine Scheinbehandlung) erhalten hatten.

Was waren die Hauptgründe für die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen?

Obwohl die Hauptstudie zu dem Ergebnis kam, dass sich die Tumoren bei mit Turalio behandelten Patienten verkleinert hatten, hatte die Agentur Bedenken, da nur eine geringe Verbesserung bei den Symptomen, wie etwa Schmerzen und Fähigkeit zur Nutzung des Gelenks, festgestellt wurde. Es war nicht deutlich, wie lange diese Wirkung anhält. Es bestanden auch ernste Bedenken bezüglich unvorhersehbarer, potenziell lebensbedrohlicher Wirkungen von Turalio auf die Leber.

Die Agentur war daher der Ansicht, dass der Nutzen von Turalio gegenüber den Risiken nicht überwiegt, und empfahl die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen.

Hat die Versagung Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien bzw. „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen?

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die an klinischen Studien oder „Compassionate-Use“-Programmen mit Turalio teilnehmen.

Sollten Sie an einer klinischen Studie oder einem „Compassionate-Use“-Programm teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren behandelnden Arzt.