



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10 Νοεμβρίου 2023  
EMA/492147/2023  
EMA/H/C/005468

## Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Vijoice (αλπελισίμπη)

Στις 30 Οκτωβρίου 2023 η Novartis απέσυρε την αίτησή της για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Vijoice για τη θεραπεία του φάσματος υπερανάπτυξης που σχετίζεται με το γονίδιο PIK3CA (PROS), μιας γενετικής πάθησης που προκαλεί σειρά συμπτωμάτων, μεταξύ των οποίων δυσπλασίες και μη φυσιολογική ανάπτυξη ή όγκους που επηρεάζουν διάφορους ιστούς, όπως το δέρμα, τα οστά, τα αιμοφόρα αγγεία και τον εγκέφαλο.

### Τι είναι το Vijoice και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;

Το Vijoice αναπτύχθηκε ως φάρμακο για τη θεραπεία ενηλίκων και παιδιών ηλικίας 2 ετών και άνω με σοβαρά ή απειλητικά για τη ζωή συμπτώματα του PROS που απαιτούν συστηματική θεραπεία (θεραπεία που επηρεάζει ολόκληρο το σώμα).

Το Vijoice περιέχει τη δραστική ουσία αλπελισίμπη και επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή δισκίων για χορήγηση από το στόμα.

Το Vijoice χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 26 Μαρτίου 2021 για τη θεραπεία του PROS. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού διατίθενται στον [δίκτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση](#):

### Πώς δρα το Vijoice;

Σε ασθενείς με PROS, οι μεταλλάξεις (αλλαγές) σε ένα γονίδιο που ονομάζεται *PIK3CA* προκαλούν την ενεργοποίηση ενός ενζύμου (κινάση PI3) το οποίο συμμετέχει στην ανάπτυξη των κυττάρων. Αυτό έχει ως αποτέλεσμα τη μη φυσιολογική ανάπτυξη των ιστών (όγκοι) και δυσπλασίες.

Η δραστική ουσία του Vijoice, η αλπελισίμπη, αναστέλλει τη δράση του ενζύμου και αναμενόταν να μειώσει τα συμπτώματα του PROS.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;**

Η εταιρεία παρουσίασε δεδομένα από μια μελέτη στην οποία μετείχαν 18 ενήλικες και 39 παιδιά και έφηβοι με PROS, οι οποίοι λάμβαναν Vioice στο πλαίσιο προγράμματος παρηγορητικής χρήσης. Οι ασθενείς παρουσίαζαν σοβαρά ή απειλητικά για τη ζωή συμπτώματα PROS που απαιτούσαν συστηματική θεραπεία. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν ο αριθμός των ασθενών που, μετά από 24 εβδομάδες θεραπείας, παρουσίασαν μείωση κατά τουλάχιστον 20 % στο συνολικό μέγεθος ενός έως τριών μη φυσιολογικών εξογκωμάτων ή όγκων.

## **Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;**

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων είχε αξιολογήσει τις πληροφορίες που είχαν υποβληθεί από την εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων. Κατά τη στιγμή της απόσυρσης της αίτησης, η εταιρεία δεν είχε ακόμη απαντήσει στον τελευταίο γύρο ερωτήσεων.

## **Ποια ήταν η σύσταση του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης;**

Βάσει της εξέτασης των υποβληθέντων στοιχείων και της απάντησης της εταιρείας στις αρχικές ερωτήσεις του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός εξέφρασε ορισμένες ανησυχίες και διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το Vioice δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί για τη θεραπεία του PROS.

Ο Οργανισμός έκρινε ότι τα δεδομένα της μελέτης δεν ήταν επαρκή για να καταδειχθεί επακριβώς η επίδραση του φαρμάκου στο μέγεθος των όγκων και το κατά πόσον οι ασθενείς επωφελήθηκαν πράγματι από ενδεχόμενη μείωση του μεγέθους των όγκων. Επιπλέον, παρά το γεγονός ότι το PROS περιλαμβάνει διάφορους τύπους συνδρόμων, η επίδραση του Vioice παρατηρήθηκε σε ένα μόνο από αυτά τα σύνδρομα. Τέλος, η μακροπρόθεσμη ασφάλεια του φαρμάκου, ιδίως οι επιπτώσεις του στην αύξηση και την ανάπτυξη των παιδιών, είναι άγνωστη.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι η εταιρεία δεν είχε υποβάλει επαρκή στοιχεία για τη στήριξη της αίτησης.

## **Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;**

Στην [επιστολή](#) της με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση της αίτησης, η εταιρεία δήλωσε ότι χρειαζόταν περισσότερο χρόνο για να λάβει περαιτέρω στοιχεία προς υποστήριξη της αξιολόγησης του Vioice.

## **Επηρεάζει η απόσυρση της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;**

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι η απόσυρση δεν έχει συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης/διαχειριζόμενης πρόσβασης με το Vioice.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή ή σε πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης/διαχειριζόμενης πρόσβασης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, επικοινωνήστε με τον γιατρό της κλινικής δοκιμής.