



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 Μαΐου 2023
EMA/271443/2023
EMA/H/C/004867

Απόρριψη της αίτησης χορήγησης άδειας κυκλοφορίας για το Sohonos (παλοβαροτένη)

Επιβεβαίωση της απόρριψης μετά από επανεξέταση

Μετά από επανεξέταση της αρχικής του γνώμης, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων επιβεβαίωσε την εισήγησή του για απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Sohonos, ένα φάρμακο το οποίο προορίζεται για τη θεραπεία της προοδευτικής οστεοποίου ινοδυσπλασίας (FOP). Η FOP είναι μια σπάνια γενετική νόσος που προκαλεί τον σχηματισμό επιπλέον οστών σε σημεία εκτός του σκελετού (διαδικασία που ονομάζεται ετεροτοπική οστεοποίηση), όπως στις αρθρώσεις, τους μύς, τους τένοντες και τους συνδέσμους, με αποτέλεσμα τη σταδιακή μείωση της κινητικότητας και άλλες σοβαρές αναπηρίες.

Ο Οργανισμός εξέδωσε γνώμη κατόπιν επανεξέτασης στις 25 Μαΐου 2023. Η αρχική γνώμη του Οργανισμού εκδόθηκε στις 26 Ιανουαρίου 2023. Η εταιρεία που υπέβαλε αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Sohonos, η Ipsen Pharma, ζήτησε επανεξέταση της αρχικής γνώμης του EMA.

Τι είναι το Sohonos και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;

Το Sohonos προοριζόταν για τη μείωση του μη φυσιολογικού σχηματισμού οστών στις αρθρώσεις, τους μύς, τους τένοντες και τους συνδέσμους σε ενήλικες και παιδιά (σε κορίτσια ηλικίας άνω των 8 ετών και σε αγόρια ηλικίας άνω των 10 ετών) με FOP. Περιέχει τη δραστική ουσία παλοβαροτένη και επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή καψακίων για χορήγηση από το στόμα κάθε ημέρα.

Το Sohonos χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 19 Νοεμβρίου 2014 για τη θεραπεία της FOP. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-14-1368.

Πώς δρα το Sohonos;

Η δραστική ουσία του Sohonos, η παλοβαροτένη, ανήκει σε μια κατηγορία φαρμάκων που είναι γνωστά ως ρετινοειδή. Προσκολλάται στον υποδοχέα του ρετινοϊκού οξέος (γάμμα), ο οποίος υπάρχει στα κύτταρα που συμμετέχουν στον σχηματισμό των οστών. Με την προσκόλλησή του σε αυτούς τους

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



υποδοχείς, το φάρμακο ενεργοποιεί διαδικασίες που μειώνουν τον σχηματισμό των οστών. Κατ' αυτόν τον τρόπο αναμενόταν να ανακουφιστούν τα συμπτώματα της πάθησης.

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

Η εταιρεία υπέβαλε τα αποτελέσματα μίας κύριας μελέτης στην οποία μετείχαν 107 ενήλικες και παιδιά με FOP. Όλοι οι συμμετέχοντες στη μελέτη έλαβαν Sohoнос και τα αποτελέσματα της μελέτης συγκρίθηκαν με αυτά μιας δεύτερης μελέτης στην οποία μετείχαν 114 ασθενείς με FOP που δεν έλαβαν καμία θεραπεία.

Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας στην κύρια μελέτη ήταν η μεταβολή του αριθμού των νεοεμφανιζόμενων ετεροτοπικών οστεοποιήσεων σε ασθενείς.

Ποιοι ήταν οι βασικοί λόγοι απόρριψης της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας;

Κατά τον χρόνο της αρχικής αξιολόγησης, ο Οργανισμός έκρινε ότι δεν ήταν δυνατόν να συναχθούν οριστικά συμπεράσματα σχετικά με τα οφέλη του φαρμάκου, καθώς το συμπέρασμα του αιτούντος βασίστηκε σε μια εκ των υστέρων ανάλυση η οποία δεν ήταν επιστημονικά ή κλινικά τεκμηριωμένη και οι προκαθορισμένοι στόχοι της μελέτης δεν είχαν επιτευχθεί. Επιπλέον, τα αποτελέσματα από άλλες μελέτες και τα περιορισμένα μακροπρόθεσμα κλινικά δεδομένα που ήταν διαθέσιμα δεν υποστηρίζαν την αποτελεσματικότητα. Σε ό,τι αφορά την ασφάλεια, ο κίνδυνος πρόωρης πόρωσης της επίφυσης (premature physeal closure, διαταραχή των περιοχών ανάπτυξης νέου οστού στα άκρα των μακρών οστών η οποία παρεμποδίζει τη φυσιολογική τους ανάπτυξη), ο οποίος είναι γνωστός κίνδυνος της θεραπείας με ρετινοειδή σε αναπτυσσόμενους ασθενείς, δεν ήταν δυνατό να μετριαστεί επαρκώς με τα μέτρα ελαχιστοποίησης του κινδύνου που πρότεινε η εταιρεία. Επιπλέον, ο Οργανισμός έκρινε ότι ορισμένα ζητήματα σχετικά με την ποιότητα της δραστικής ουσίας δεν είχαν επιλυθεί.

Οι ανησυχίες αυτές εξακολούθησαν να υφίστανται και μετά την επανεξέταση των στοιχείων που παρασχέθηκαν και, ως εκ τούτου, ο Οργανισμός ενέμεινε στη θέση του ότι η ποιότητα, η ασφάλεια και η αποτελεσματικότητα του Sohoнос δεν είχαν καταδειχθεί επαρκώς. Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός έκρινε ότι τα οφέλη του Sohoнос δεν υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας.

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

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι η απόρριψη της αίτησης δεν έχει συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης με το Sohoнос.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή ή πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό σας.