



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 Ιουνίου 2020
EMA/336104/2020
EMA/H/C/004832

Απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Turalio (πεξινταρτινίμνη)

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων εισηγήθηκε την απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Turalio, φάρμακο προοριζόμενο για τη θεραπεία του γιγαντοκυτταρικού όγκου των τενοντίων ελύτρων.

Ο Οργανισμός εξέδωσε γνώμη στις 25 Ιουνίου 2020. Η εταιρεία που υπέβαλε αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, η Daiichi Sankyo Europe GmbH, μπορεί να ζητήσει επανεξέταση της γνώμης εντός 15 ημερών από τη λήψη της κοινοποίησής της.

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

Το Turalio αναπτύχθηκε ως φάρμακο για τη θεραπεία ενηλίκων με γιγαντοκυτταρικό όγκο των τενοντίων ελύτρων, μια πάθηση που μπορεί να προκαλέσει πόνο και να περιορίσει αισθητά τη σωματική λειτουργία. Το φάρμακο επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί σε περιπτώσεις όπου δεν θα ήταν πλέον εφικτή η χρήση άλλων θεραπειών, περιλαμβανομένης της χειρουργικής επέμβασης, ή σε περιπτώσεις όπου άλλες θεραπείες ήταν ακατάλληλες. Ο γιγαντοκυτταρικός όγκος των τενοντίων ελύτρων είναι μια μη καρκινική πάθηση, κατά την οποία ο ιστός που περιβάλλει τις εσωτερικές επιφάνειες των αρθρώσεων και τους τένοντες, γνωστός και ως αρθρικός υμένας, επεκτείνεται με μη φυσιολογικό τρόπο και σχηματίζει εξογκώματα επάνω στις αρθρώσεις και γύρω από αυτές.

Το Turalio περιέχει τη δραστική ουσία πεξινταρτινίμνη και επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή καψακίων για λήψη από το στόμα.

Το Turalio χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 19 Μαρτίου 2015, για τη θεραπεία του εντοπισμένου και διάχυτου γιγαντοκυτταρικού όγκου των τενοντίων ελύτρων. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457.

Πώς δρα το Turalio;

Η δραστική ουσία του Turalio, η πεξινταρτινίμνη, δρα αναστέλλοντας τον υποδοχέα (στόχο) CSF1R, στον οποίο προσκολλάται η πρωτεΐνη CSF-1. Η εν λόγω πρωτεΐνη παράγεται σε μεγάλες ποσότητες από



τους γιγαντοκυτταρικούς όγκους των τενοντίων ελύτρων, με αποτέλεσμα τη συσσώρευση των ανοσοποιητικών κυττάρων που καλούνται «μακροφάγοι» στις αρθρώσεις και τον σχηματισμό εξογκωμάτων. Το φάρμακο αναμενόταν να συμβάλει στην πρόληψη της ανάπτυξης όγκων και στον περιορισμό των συμπτωμάτων της νόσου αναστέλλοντας τον υποδοχέα CSF1R και περιορίζοντας έτσι τη δράση της CSF-1.

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

Η εταιρεία παρουσίασε τα αποτελέσματα μιας βασικής μελέτης στην οποία μετείχαν 120 ενήλικες με προχωρημένο γιγαντοκυτταρικό όγκο των τενοντίων ελύτρων, ο οποίος δεν μπορούσε να θεραπευτεί με άλλους τρόπους. Η μελέτη εξέτασε τη μεταβολή στο μέγεθος του όγκου μετά τη λήψη είτε Turalio είτε εικονικού φαρμάκου (εικονικής θεραπείας) για διάστημα 25 εβδομάδων.

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

Ο Οργανισμός εξέφρασε τις επιφυλάξεις του για το γεγονός ότι παρόλο που η βασική μελέτη διαπίστωσε συρρίκνωση των όγκων στους ασθενείς που έλαβαν Turalio, παρατηρήθηκε μικρή βελτίωση των συμπτωμάτων, όπως ο πόνος και η ικανότητα χρήσης της άρθρωσης. Επιπλέον, δεν ήταν σαφές το πόσο διαρκεί αυτή η επίδραση. Εκφράστηκαν επίσης επιφυλάξεις για τις απρόβλεπτες και δυνητικά απειλητικές για τη ζωή επιδράσεις του Turalio στο ήπαρ.

Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι τα οφέλη του Turalio 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 Turalio.

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