



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10 de noviembre de 2023
EMA/492147/2023
EMA/H/C/005468

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Vijoice (alpelisib)

El 30 de octubre de 2023, Novartis retiró su solicitud de autorización de comercialización de Vijoice para el tratamiento del espectro de síndromes de sobrecrecimiento relacionado con *PIK3CA* (PROS), una enfermedad genética que provoca una serie de síntomas, como malformaciones y crecimiento anormal o tumores que afectan a varios tejidos, como la piel, los huesos, los vasos sanguíneos y el cerebro.

¿Qué es Vijoice y a qué uso estaba destinado?

Vijoice se desarrolló como medicamento para el tratamiento de adultos y niños a partir de los 2 años con síntomas graves o potencialmente mortales de PROS que requieren un tratamiento sistémico (tratamiento que afecta a todo el cuerpo).

Vijoice contiene el principio activo alpelisib e iba a presentarse en forma de comprimidos para tomar por vía oral.

Vijoice fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 26 de marzo de 2021 para el tratamiento del PROS. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web de la Agencia](#).

¿Cómo actúa Vijoice?

En los pacientes con PROS, las mutaciones (cambios) en un gen denominado *PIK3CA* provocan la activación de una enzima (PI3 cinasa) implicada en el crecimiento celular. Esto provoca un crecimiento anormal de los tejidos (tumores) y malformaciones.

El principio activo de Vijoice, el alpelisib, bloquea la acción de la enzima y se esperaba que redujera los síntomas del PROS.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

La empresa presentó datos de un estudio en el que participaron 18 adultos y 39 niños y adolescentes con PROS que estaban recibiendo Vijoice como parte de un programa de uso compasivo. Los pacientes

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



presentaban síntomas graves o potencialmente mortales de PROS que requerían tratamiento sistémico. El criterio de valoración principal de la eficacia fue el número de pacientes que, después de 24 semanas de tratamiento, presentaban una reducción de al menos un 20 % del tamaño total de uno a tres crecimientos anormales o tumores.

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La solicitud fue retirada después de que la Agencia Europea de Medicamentos hubiese evaluado la información facilitada por la empresa y formulado una lista de preguntas. La empresa no había respondido a la última serie de preguntas en el momento de la retirada.

¿Qué recomendaba la Agencia en ese momento?

Estudiada la documentación y las respuestas de la empresa a la lista de preguntas de la Agencia, en el momento de la retirada la Agencia tenía reservas y, provisionalmente, consideraba que Vioice no hubiera podido aprobarse para el tratamiento del PROS.

La Agencia consideró que los datos del estudio no eran suficientes para demostrar exactamente qué efecto tuvo el medicamento en el tamaño de los tumores y si los pacientes se beneficiaron realmente de una reducción del tamaño de los tumores. Además, aunque el PROS incluye diferentes tipos de síndromes, solo se observó un efecto de Vioice en uno de estos síndromes. Por último, se desconoce la seguridad a largo plazo del medicamento, en particular sus efectos en el crecimiento y el desarrollo de los niños.

Por consiguiente, en el momento de la retirada, la Agencia estimaba que la empresa no había presentado datos suficientes en apoyo de la solicitud.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

En el [escrito](#) en el que notificaba a la Agencia la retirada de su solicitud, la empresa declaró que necesitaba más tiempo para obtener más datos que respaldaran la evaluación de Vioice.

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos o programas de uso compasivo?

La empresa informó a la Agencia que la retirada no tiene consecuencias para los pacientes que participan en ensayos clínicos o en programas de uso compasivo o de acceso controlado con Vioice.

Si participa usted en un ensayo clínico o en un programa de uso compasivo o de acceso controlado y necesita más información sobre su tratamiento, hable con su médico responsable del ensayo clínico.