



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 de mayo de 2023
EMA/271444/2023
EMA/H/C/004867

Denegación de la autorización de comercialización de Sohonos (palovaroteno)

La denegación se confirma tras la revisión

Tras reexaminar su dictamen inicial, la Agencia Europea de Medicamentos ha confirmado su recomendación de denegar la autorización de comercialización de Sohonos, un medicamento destinado al tratamiento de la fibrodisplasia osificante progresiva (FOP). La FOP es una enfermedad genética rara que provoca la formación adicional de hueso en lugares que quedan fuera del esqueleto (un proceso denominado osificación heterotópica), como las articulaciones, los músculos, los tendones y los ligamentos, lo que da lugar a una disminución progresiva de la movilidad y otras deficiencias graves.

Una vez realizada la revisión, la Agencia emitió su dictamen el 25 de mayo de 2023. La Agencia había emitido su dictamen inicial el 26 de enero de 2023. La empresa que solicitó la autorización de Sohonos, Ipsen Pharma, había solicitado una revisión del dictamen inicial de la EMA.

¿Qué es Sohonos y para qué estaba destinado?

Sohonos estaba destinado a reducir la formación anómala de hueso en las articulaciones, los músculos, los tendones y los ligamentos en adultos y niños (mayores de 8 años en el caso de las niñas y mayores de 10 años en el de los niños) con FOP. El medicamento contiene el principio activo palovaroteno y debía presentarse en forma de cápsulas que se tomarían por vía oral todos los días.

Sohonos fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 19 de noviembre de 2014 para el tratamiento de la FOP. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-14-1368.

¿Cómo actúa Sohonos?

El principio activo de Sohonos, el palovaroteno, pertenece a un grupo de medicamentos conocidos como retinoides. El medicamento se une a los receptores de ácido retinoico (gamma), que están presentes en las células que participan en la formación de hueso, y, al unirse a estos receptores, activa los procesos que reducen dicha formación. Se esperaba que esto aliviara los síntomas de la enfermedad.

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



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

La empresa presentó los resultados de un estudio principal en el que participaron 107 adultos y niños con FOP. A todos los participantes del estudio se les administró Sohonos y los resultados del estudio se compararon con los de un segundo estudio en el que participaron 114 pacientes con FOP que no recibieron tratamiento.

El criterio principal de valoración de la eficacia en el estudio principal fue el cambio en la cantidad de osificaciones heterotópicas recientemente desarrolladas en los pacientes.

¿Cuáles fueron los motivos principales para denegar la autorización de comercialización?

En el momento de la evaluación inicial, la Agencia consideró que no se podían extraer conclusiones firmes sobre los beneficios del medicamento, ya que la conclusión del solicitante se basaba en un análisis *a posteriori* que no estaba justificado desde el punto de vista científico ni clínico y no se cumplían los objetivos predefinidos del estudio. Además, los resultados de otros estudios y los limitados datos clínicos a largo plazo disponibles no respaldaron la eficacia. Por lo que se refiere a la seguridad, el riesgo de cierre fisario prematuro (una perturbación en las zonas de crecimiento óseo nuevo en las extremidades de los huesos largos, que les impide crecer con normalidad), que es un riesgo conocido del tratamiento con retinoides en pacientes en edad de crecimiento, no pudo mitigarse adecuadamente con las medidas de minimización de riesgos propuestas por la empresa. Además, la Agencia consideró que no se habían resuelto algunas cuestiones relativas a la calidad del principio activo.

Estas reservas no cambiaron tras la revisión de los datos proporcionados, por lo que la Agencia seguía opinando que la calidad, la seguridad y la eficacia de Sohonos no habían quedado suficientemente demostradas. Por consiguiente, la Agencia consideró que los beneficios de Sohonos no superaban a los riesgos y recomendó denegar la autorización de comercialización.

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

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que participan en ensayos clínicos o programas de uso compasivo con Sohonos.

Si participa usted en un ensayo clínico o programa de uso compasivo y precisa información adicional acerca de su tratamiento, póngase en contacto con su médico.