



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10. november 2023
EMA/492147/2023
EMA/H/C/005468

Müügiloa taotluse tagasivõtmine: Vioice (alpelisiib)

30. oktoobril 2023 võttis Novartis tagasi ravimi Vioice müügiloa taotluse. Ravim oli näidustatud PIK3CA-ga seotud ülekasvusektri (PROS) raviks. PROS on geneetiline seisund, mis põhjustab mitmesuguseid sümptomeid, sealhulgas väärarenguid ja ebanormaalset kasvu või kasvajaid, mis mõjutavad mitut kude, näiteks nahka, luid, veresooni ja peaju.

Mis on Vioice ja milleks kavatseti seda kasutada?

Vioice töötati välja ravimina täiskasvanute ja vähemalt 2-aastaste laste raviks, kellel esinevad PROSi rasked või eluohtlikud sümptomid, mis nõuavad süsteemset ravi (kogu organismi mõjutav ravi).

Vioice sisaldab toimeainet alpelisiibi ja seda kavatseti turustada suukaudsete tablettidena.

Vioice nimetati 26. märtsil 2021 PROSi ravi harvikravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on [ameti veebilehel](#).

Kuidas Vioice toimib?

PROSiga patsientidel põhjustavad *PIK3CA*-geeni mutatsioonid (muutused) rakkude kasvus osaleva ensüümi (PI3 kinaasi) aktiveerumist. See põhjustab kudede ebanormaalset kasvu (kasvajaid) ja väärarenguid.

Vioice toimeaine alpelisiib blokeerib ensüümi toime ja eeldati, et see vähendab PROSi sümptomeid.

Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas andmed Vioicet eriloaga kasutamise programmi raames saanud 18 täiskasvanu ning 39 lapse ja nooruki uuringust, kellel oli PROS. Patsientidel olid PROSi rasked või eluohtlikud sümptomid, mis vajasid süsteemset ravi. Efektiivsuse põhinäitaja oli nende patsientide arv, kellel 1–3 ebanormaalse vohandi või kasvaja üldsuurus vähenes pärast 24-nädalast ravi vähemalt 20% võrra.

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



Mis järgus oli müügiloa taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Taotlus võeti tagasi pärast seda, kui Euroopa Raviamet oli hinnanud ettevõtte esitatud teavet ja koostanud küsimused. Ettevõtte ei olnud taotluse tagasivõtmise ajaks viimastele küsimustele veel vastanud.

Mis oli sel ajal Euroopa Raviameti soovitus?

Tuginedes esitatud andmete analüüsile ja ettevõtte vastustele ameti esitatud esialgsetele küsimustele, nägi amet taotluse tagasivõtmise ajal põhjust ettevaatlikkuseks ja oli esialgsel seisukohal, et ravimi Vijoice kasutamist PROSi raviks ei ole võimalik heaks kiita.

Amet leidis, et uuringu andmed ei olnud piisavad, et täpselt tõendada ravimi toimet kasvajate suurusele ja kas patsientidele oli kasvaja suuruse vähenemine tegelikult kasulik. Kuigi PROS hõlmab eri tüüpi sündroome, täheldati Vijoice toimet neist ainult ühe sündroomi korral. Samuti ei ole teada ravimi pikaajaline ohutus, eelkõige mõju laste kasvule ja arengule.

Seetõttu oli amet müügiloa taotluse tagasivõtmise ajal arvamusel, et ettevõtte ei ole esitanud piisavalt andmeid taotluse toetuseks.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Ettevõtte [kirjas](#), milles ta teatab Euroopa Raviametile oma taotluse tagasivõtmisest, märgib ettevõtte, et tal on vaja rohkem aega täiendavate andmete hankimiseks, et toetada Vijoice hindamist.

Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas Euroopa Raviametile, et taotluse tagasivõtmine ei mõjuta praegu Vijoice kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise / kontrollitud juurdepääsu programmides osalevaid patsiente.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus või eriloaga kasutamise / kontrollitud juurdepääsu programmis ja vajate ravi kohta lisateavet, pöörduge kliinilise uuringu arsti poole.