



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25. mai 2023
EMA/271445/2023
EMA/H/C/004867

Ravimi Sohonos (palovaroteen) müügiloa andmisest keeldumine

Taasläbivaatamisel kinnitati keeldumist

Pärast esialgse arvamuse taasläbivaatamist kinnitas Euroopa Raviamet oma soovitus keelduda andmast müügiluba ravimile Sohonos, mida kavatseti kasutada progresseeruva luustuva fibrodüsplaasia (FOP) raviks. FOP on harvaesinev geneetiline haigus, mis põhjustab liigse luukoe teket väljaspool luustikku (heterotoopne ossifikatsioon), näiteks liigestes, lihastes, kõõlustes ja sidemetes, mis järk-järgult vähendab liikuvust ja põhjustab muid raskeid kahjustusi.

Amet avaldas oma arvamuse pärast taasläbivaatamist 25. mail 2023. Amet oli avaldanud oma esialgse arvamuse 26. jaanuaril 2023. Sohonose müügiluba taotlenud ettevõtte Ipsen Pharma oli taotlenud EMA esialgse arvamuse taasläbivaatamist.

Mis on Sohonos ja milleks kavatseti seda kasutada?

Sohonost kavatseti kasutada, et vähendada luukoe ebanormaalset teket liigestes, lihastes, kõõlustes ja sidemetes FOPiga täiskasvanutel ja lastel (üle 8-aastastel tüdrukutel ja üle 10-aastastel poistel). Ravim sisaldab toimeainena palovaroteeni ja seda kavatseti turustada iga päev võetavate suukaudsete kapslitena.

Sohonos nimetati 19. novembril 2014 FOPi harvikravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvikravimiks nimetatud ravimi kohta on ameti veebilehel:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-14-1368.

Kuidas Sohonos toimib?

Sohonose toimeaine palovaroteen kuulub retinoidideks nimetatavate ravimite rühma. See seondub retinoehappe retseptoriga (gamma), mida leidub luukoe moodustumises osalevates rakkudes. Nende retseptoritega seondudes lülitab ravim sisse protsessid, mis vähendavad luukoe teket. Eeldati, et see leevendab seisundi sümptomeid.

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



© European Medicines Agency, 2023. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas tulemused ühest põhiuuringust, milles osales 107 FOPiga täiskasvanut ja last. Kõigile uuringuosalistele manustati Sohonost ja uuringu tulemusi võrreldi teise uuringu tulemustega, milles osales 114 FOPiga patsienti, kes ei saanud ravi.

Põhiuuringu efektiivsuse põhinäitaja oli patsientide uute heterotoopsete ossifikatsioonide arvu muutus.

Mis olid müügiloo andmisest keeldumise peamised põhjused?

Esialgse hindamise ajal leidis amet, et ravimi kasulikkuse kohta ei saa teha kindlaid järeldusi, sest taotleja järeldus põhines järelanalüüsil, mis ei olnud teaduslikult ega kliiniliselt põhjendatud, ning uuringu eelmääratletud eesmärgid ei saavutatud. Lisaks ei toetanud muude uuringute tulemused ja piiratud pikaajalised kliinilised andmed efektiivsust. Ohutuse osas tuleb märkida, ettevõtte kavandatud riskiminimeerimismeetmetega ei ole võimalik piisavalt leevendada kasvuplaatide enneaegse sulgumise riski. Kasvuplaadid on piirkonnad toruluude otstes, kus toimub luude normaalne kasvamine, ning nende enneaegse sulgumise risk on retinoidravi teadaolev risk kasvueas patsientidel. Lisaks leidis amet, et lahendamata oli osa küsimusi seoses toimeaine kvaliteediga.

Need probleemid ei muutunud pärast esitatud andmete taasläbivaatamist ja seetõttu jäi amet arvamusele, et Sohonose kvaliteeti, ohutust ja efektiivsust ei ole piisavalt tõendatud. Seetõttu oli amet arvamusel, et Sohonose kasulikkus ei ole suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas müügiloo andmisest keelduda.

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

Ettevõtte teatas ametile, et keeldumine ei mõjuta Sohonose kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus või eriloaga kasutamise programmis ja vajate ravi kohta lisateavet, pöörduge oma arsti poole.