



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Vijoice-lääkevalmistetta (alpelisibi) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Novartis peruutti 30. lokakuuta 2023 myyntilupahakemuksensa, joka koski PROS:in (PIK3CA-geeniin liittyvä liikakasvun oirekirjo) hoitoa. Kyseessä on geneettinen sairaus, joka aiheuttaa useita oireita, kuten epämuodostumia ja epänormaalia liikakasvua tai kasvaimia, jotka vaikuttavat useisiin kudoksiin, kuten ihoon, luihin, verisuoniin ja aivoihin.

Mitä Vijoice on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Vijoice-valmistetta kehitettiin lääkkeeksi sellaisten aikuisten ja vähintään 2-vuotiaiden lasten hoitoon, joilla on vakavia tai hengenvaarallisia PROS:n oireita, jotka vaativat systeemistä hoitoa (koko kehoon vaikuttava hoito).

Vijoiceen vaikuttava aine on alpelisibi, ja sitä oli määrä olla saatavana suun kautta otettavina tabletteina.

Vijoice nimettiin 26.3.2021 harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) PROS:n hoitoon. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on [viraston verkkosivuilla](#).

Miten Vijoice vaikuttaa?

PROS-potilailla mutaatiot (muutokset) *PIK3CA*-geenissä aktivoivat solun kasvuun osallistuvan entsyymin (PI3-kinaasi) toimintaa. Tämä johtaa kudosten (kasvainten) ja epämuodostumien epänormaaliin kasvuun.

Vijoiceen vaikuttava aine alpelisibi estää entsyymin toimintaa, ja sen odotettiin vähentävän PROS-taudin oireita.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tiedot tutkimuksesta, johon osallistui 18 aikuista ja 39 lasta ja nuorta, jotka sairastivat PROS-tautia ja joille annettiin Vijoice-valmistetta erityiskäyttöohjelmassa. Potilailla oli vakavia tai hengenvaarallisia PROS:n oireita, jotka vaativat systeemistä hoitoa. Tehon pääasiallisena mittana oli

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



niiden potilaiden määrä, joilla epänormaalin liikakasvun tai kasvaimen kattama alue pieneni kokonaisuudessaan 24 viikon hoidon jälkeen vähintään 20 prosenttia.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut yhtiön toimittamat tiedot ja laatinut luettelon kysymyksistä. Yhtiö ei ollut vastannut viimeisiin kysymyksiin, kun hakemus peruutettiin.

Mikä oli viraston suositus tuolloin?

Virasto suhtautui saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, ettei Vioice-valmistetta olisi voitu hyväksyä PROS:n hoitoon.

Virasto katsoi, etteivät tutkimuksesta saadut tiedot riittäneet osoittamaan täsmällisesti, millainen vaikutus lääkkeellä oli kasvainten kokoon, ja pienenivätkö potilaiden kasvaimet tosiasiallisesti. Vaikka PROS käsittää monenlaisia oireyhtymiä, Vioicen havaittiin vaikuttavan niistä vain yhteen. Lääkkeen pitkäaikaista turvallisuutta, erityisesti sen vaikutuksia lasten kasvuun ja kehitykseen, ei tunneta.

Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei yhtiö ollut toimittanut riittävästi tietoa hakemuksen tueksi.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa tarvitsevänsä lisää aikaa saadaakseen enemmän tietoa Vioicen arvioinnin tueksi.

Vaikuttaako tämä hakemuksen peruuttaminen klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti virastolle, ettei päätöksellä ole seurauksia Vioicen klinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttö-/MAP-ohjelmiin osallistuville potilaille.

Jos olet mukana klinisessä tutkimuksessa tai erityiskäyttö-/MAP-ohjelmissa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä klinisen tutkimuksen lääkäriin.