



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25. toukokuuta 2023
EMA/271446/2023
EMA/H/C/004867

Sohonos-lääkevalmisteen (palovaroteeni) myyntiluvan epääminen

Epääminen vahvistettu uudelleenarvioinnissa

Euroopan lääkevirasto on alkuperäisen lausuntonsa uudelleenarvioinnin jälkeen vahvistanut suosituksensa evätä myyntilupa Sohonos-valmisteele, joka on tarkoitettu fibrodysplasia ossificans progressivan (FOP) hoitoon. FOP on harvinainen geneettinen sairaus, joka aiheuttaa ylimääräisen luun muodostumista luuston ulkopuolisissa paikoissa (sidekudossyntyinen luutuminen), kuten nivelissä, lihaksissa, jänteissä ja nivelsiteissä, ja johtaa asteittain liikkuvuuden rajoittumiseen ja muihin vaikeisiin toimintavajeisiin.

Virasto antoi lausuntonsa uudelleentarkastelun jälkeen 25. toukokuuta 2023. Virasto oli antanut alkuperäisen lausuntonsa 26. tammikuuta 2023. Sohonosin myyntilupaa hakenut yhtiö, Ipsen Pharma, pyysi lääkeviraston alkuperäisen lausunnon uudelleenarviointia.

Mitä Sohonos on ja mihin se oli tarkoitettu?

Sohonosin oli tarkoitus vähentää epänormaalia luutumista nivelissä, lihaksissa, jänteissä ja nivelsiteissä aikuisilla ja lapsilla (yli 8-vuotiailla tytöillä ja yli 10-vuotiailla pojilla), joilla on FOP. Sen vaikuttava aine on palovaroteeni, ja sitä oli määrä olla saatavana päivittäin suun kautta otettavina kapseleina.

Sohonos nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 19. marraskuuta 2014 FOP:n hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-14-1368.

Miten Sohonos vaikuttaa?

Sohonosin vaikuttava aine palovaroteeni kuuluu retinoidien lääkeryhmään. Se kiinnittyy retinoiinihapporeseptoriin (gamma), jota esiintyy soluissa, jotka osallistuvat luun muodostumiseen. Kiinnittymällä näihin reseptoreihin lääke käynnistää prosesseja, jotka vähentävät luun muodostumista. Tämän odotettiin lievittävän sairauden oireita.

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



Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö toimitti tulokset yhdestä päätutkimuksesta, johon osallistui 107 FOP:tä sairastavaa aikuista ja lasta. Kaikille tutkimukseen osallistuneille annettiin Sohonosia, ja tutkimustuloksia verrattiin toisen tutkimuksen tuloksiin. Toiseen tutkimukseen osallistui 114 FOP-potilasta, jotka eivät saaneet hoitoa.

Päätutkimuksessa tehon pääasiallisena mittana oli muutos hiljattain kehittyneiden sidekudossyntyisten luutumisten määrässä potilailla.

Mitkä olivat tärkeimmät syyt myyntiluvan epäämiseen?

Ensimmäisen arvioinnin ajankohtana virasto katsoi, että lääkkeen hyödyistä ei voitu tehdä lopullisia päätelmiä, koska hakijan päätelmä perustui jälkianalyysiin, joka ei ollut tieteellisesti eikä kliinisesti perusteltu, eikä ennalta määritettyjä tutkimustavoitteita saavutettu. Lisäksi muiden tutkimusten tulokset ja saatavilla olevat rajalliset pitkän aikavälin kliiniset tiedot eivät tukeneet tehoa. Mitä turvallisuuteen tulee, kasvulevyjen ennenaikaisen sulkeutumisen riski (uuden luun kasvun häiriintyminen pitkien luiden päissä, jolloin ne eivät kasva normaalisti), on tunnettu kasvaville potilaille annettavan retinoidihoidon riski. Sitä ei voitu lieventää riittävästi yhtiön ehdottamalla riskinminimointitoimilla. Lisäksi virasto katsoi, että joitakin vaikuttavan aineen laatua koskevia kysymyksiä ei ollut ratkaistu.

Nämä huolenaiheet eivät muuttuneet toimitettujen tietojen uudelleentarkastelun jälkeen, minkä vuoksi virasto katsoi edelleen, että Sohonosin laatua, turvallisuutta ja tehoa ei ollut osoitettu riittävästi. Näin ollen virasto katsoi, että Sohonosin hyöty ei ollut sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan epäämistä.

Vaikuttaako epääminen kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

Lääkeyhtiö ilmoitti virastolle, ettei päätöksellä ole mitään seurauksia Sohonosin kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmaan osallistuville potilaille.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä kliinisen tutkimuksen lääkäriin.