26. kesäkuuta 2020
EMA/336104/2020
EMEA/H/C/004832

Lääkevalmisteen Turalio (peksidartinibi) myyntiluvan epääminen

Euroopan lääkevirasto on suositellut, että Turalio-lääkevalmisteen myyntilupahakemus evätään. Turalio oli tarkoitettu jännetupen jättisolukasvaimen hoitoon.

Virasto antoi asiasta lausunnon 25. kesäkuuta 2020. Myyntilupaa hakenut yhtiö, Daiichi Sankyo Europe GmbH, voi pyytää lausunnon uudelleenkäsittelyä 15 päivän kuluessa tämän lausunnon vastaanottamisesta.

Mitä Turalio on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Turalio kehitettiin lääkkeeksi aikuisten jännetupen jättisolukasvaimen hoitoon. Kasvain voi aiheuttaa kipua ja vähentää merkittävästi fyysistä toimintakykyä. Sitä oli määrä käyttää, kun muita hoitoja, myös leikkausta, ei voitu enää käyttää tai kun ne eivät sopineet potilaalle. Jännetupen jättisolukasvain on syöpään liittymätön sairaus, jossa nivelen sisempiä pintoja ja jänteitä ympäröivä kudos, jota kutsutaan nivelkalvoksi tai synoviumiksi, alkaa levitä poikkeavalla tavalla ja muodostaa kasvaimia niveleen ja sen ympärille.

Turalion vaikuttava aine on peksidartinibi, ja sitä oli määrä olla saatavana suun kautta otettavina kapseleina.

Turalio nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisissa sairauksissa käytettävä lääke) 19. maaliskuuta 2015 jännetupen (paikallisen ja diffuusin) jättisolukasvaimen hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457.

Miten Turalio vaikuttaa?

Turalion vaikuttava aine, peksidartinibi, vaikuttaa salpaamalla reseptorin (kohteen) nimeltä CSF1R, johon CSF-1-niminen proteiini kiinnittyy. Jännetupen jättisolukasvaimet tuottavat suuria määriä CSF-1-proteiinia, minkä seurauksena niveleen alkaa kertyä makrofagi-nimisiä immuunisoluja, jotka saavat aikaan kasvaimia. Kun lääke salpaa CSF1R-reseptorin, CSF-1-proteiinin aktiivisuus vähenee, minkä odotettiin ehkäisevän kasvaimen kasvua ja auttavan vähentämään 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

© European Medicines Agency, 2020. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset päätutkimuksesta, johon osallistui 120 aikuista. Heillä oli levinnyt jännetupen jättisolukasvain, joka ei ollut hoidettavissa muilla tavoin. Tutkimuksessa tarkasteltiin muutosta kasvaimen koossa sen jälkeen, kun potilaat saivat joko Turaliota tai lumelääkettä 25 viikon ajan.

Mitkä olivat tärkeimmät syyt myyntiluvan epäämiseen?

Virasto katsoi, että vaikka päätutkimuksessa todettiin Turaliota saaneiden potilaiden kasvainten kutistuneen, oireissa, kuten kivussa ja nivelen käytettävyydessä, oli tapahtunut vain vähän parannusta. Ei myöskään tiedetty, kauanko tämä vaikutus kestää. Vakavaa huolta aiheuttivat Turalion ennakoimattomat, mahdollisesti hengenvaaralliset maksaan kohdistuvat vaikutukset.

Tämän vuoksi virasto katsoi, ettei Turalion hyöty ollut sen riskejä suurempi, ja suositteli myyntiluvan epäämistä siltä.

Vaikuttaako epääminen kliinisiin tutkimuksiin tai erityiskäyttöohjelmiin osallistuviin potilaisiin?

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

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