



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Povlačenje zahtjeva za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Vioice (alpelisib)

Na dan 30. listopada 2023. tvrtka Novartis povukla je svoj zahtjev za izdavanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Vioice za liječenje poremećaja iz spektra prekomjernog rasta tkiva povezanog s mutacijom u genu *PIK3CA* (engl. *PIK3CA-related overgrowth spectrum*, PROS), genetskog stanja koje uzrokuje niz simptoma, uključujući malformacije i abnormalan rast ili tumore koji zahvaćaju nekoliko tkiva kao što su koža, kosti, krvne žile i mozak.

### Što je Vioice i za što se trebao koristiti?

Vioice je razvijen kao lijek za liječenje odraslih i djece u dobi od dvije godine i starije s teškim ili po život opasnim simptomima PROS-a za koje je potrebna sistemska terapija (terapija koja djeluje na cijelo tijelo).

Vioice sadrži djelatnu tvar alpelisib i trebao je biti dostupan u obliku tableta koje se uzimaju kroz usta.

Vioice je uvršten na popis lijekova za rijetke bolesti 26. ožujka 2021. za liječenje PROS-a. Dodatne informacije o uvrštenju na popis lijekova za rijetke bolesti dostupne su na [mrežnom mjestu Agencije](#).

### Kako djeluje Vioice?

U bolesnika s PROS-om mutacije (promjene) u genu naziva *PIK3CA* uzrokuju aktivaciju enzima (PI3 kinaze) koji sudjeluje u rastu stanica. To dovodi do abnormalnog rasta tkiva (tumora) i malformacija.

Djelatna tvar lijeka Vioice, alpelisib, blokira djelovanje enzima i očekivalo se da će ublažiti simptome PROS-a.

### Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Tvrtka je predstavila podatke iz ispitivanja u kojem je sudjelovalo 18 odraslih osoba i 39 djece i adolescenata s PROS-om koji su primali lijek Vioice u okviru programa milosrdnog davanja lijekova. Bolesnici su imali teške ili po život opasne simptome PROS-a za koje je bila potrebna sistemska terapija. Glavno mjerilo učinkovitosti bio je broj bolesnika kod kojih je nakon 24 tjedna liječenja došlo do smanjenja od najmanje 20 % ukupne veličine jedne do triju abnormalne izrasline ili tumora.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **U kojoj je fazi bila procjena zahtjeva kada je povučen?**

Zahtjev je povučen nakon što je Europska agencija za lijekove procijenila informacije koje je tvrtka dostavila i sastavila popis pitanja. U trenutku povlačenja tvrtka još nije bila dostavila svoje odgovore na posljednji niz pitanja.

## **Koja je bila preporuka Agencije u tom trenutku?**

Na temelju pregleda podataka te odgovora tvrtke na inicijalna pitanja Agencije, u trenutku povlačenja Agencija je smatrala da postoje određeni razlozi za zabrinutost te je njezino privremeno mišljenje bilo da nije moguće dati odobrenje za Vijoice za liječenje PROS-a.

Agencija je smatrala da podatci iz ispitivanja nisu bili dostatni kako bi se dokazao točan učinak koji je lijek imao na veličinu tumora te jesu li bolesnici uistinu imali koristi od bilo kakvog smanjenja veličine tumora. Nadalje, iako PROS uključuje različite vrste sindroma, učinak lijeka Vijoice uočen je samo za jedan od tih sindroma. Konačno, nije poznata dugoročna sigurnost lijeka, a posebno njegovi učinci na rast i razvoj djece.

Sukladno navedenom, Agencija je u vrijeme povlačenja smatrala da tvrtka nije dostavila dostatne podatke kojima bi potkrijepila zahtjev.

## **Koje je razloge za povlačenje zahtjeva navela tvrtka?**

U svojem [dopisu](#) kojim obavještava Agenciju o povlačenju zahtjeva, tvrtka je navela da joj je potrebno više vremena za dobivanje dodatnih podataka kojima bi potkrijepila evaluaciju lijeka Vijoice.

## **Ima li ovo povlačenje zahtjeva posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima ili u programima milosrdnog davanja lijekova?**

Tvrtka je obavijestila Agenciju da povlačenje nema posljedica za bolesnike koji su uključeni u klinička ispitivanja ili programe milosrdnog davanja lijekova u kojima se koristi lijek Vijoice.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju ili u programu milosrdnog davanja lijekova / programu kontroliranog pristupa te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vodi vaše kliničko ispitivanje.