



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26. lipnja 2020.
EMA/336104/2020
EMA/H/C/004832

Odbijanje izdavanja odobrenja za stavljanje u promet lijeka Turalio (peksidartinib)

Europska agencija za lijekove preporučila je odbijanje izdavanja odobrenja za stavljanje u promet lijeka Turalio, koji je bio namijenjen za liječenje tenosinovijalnih gigantocelularnih tumora.

Agencija je objavila mišljenje 25. lipnja 2020. Tvrtka koja je podnijela zahtjev za izdavanje odobrenja, Daiichi Sankyo Europe GmbH, može zatražiti preispitivanje mišljenja u roku od 15 dana od primitka ovog mišljenja.

Što je Turalio i za što se trebao koristiti?

Turalio je razvijen kao lijek za liječenje odraslih bolesnika s tenosinovijalnim gigantocelularnim tumorom koji može prouzročiti bolove i znatno smanjiti tjelesne funkcije. Trebao se koristiti kada druga liječenja, uključujući kirurški zahvat, više nisu moguća ili su postala neprikladna. Tenosinovijalni gigantocelularni tumor je nekancerogeno stanje pri kojem se tkivo oko unutarnjih površina zglobova i tetiva, pod nazivom sinovijalna ovojnica ili sinovija, abnormalno širi i stvara izrasline u zglobu i oko njega.

Lijek Turalio sadrži djelatnu tvar peksidartinib i trebao je biti dostupan u obliku kapsula koje se uzimaju kroz usta.

Lijek Turalio dobio je status lijeka za rijetke bolesti 19. ožujka 2015. za liječenje tenosinovijalnih gigantocelularnih tumora, lokaliziranog i difuznog tipa. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti možete naći na internetskim stranicama Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457.

Kako djeluje Turalio?

Djelatna tvar u lijeku Turalio, peksidartinib, djeluje tako što blokira receptor (cilj) koji se naziva CSF1R, na koji se vezuje protein pod nazivom CSF-1. Tenosinovijalni gigantocelularni tumori proizvode CSF-1 u velikim količinama, a taj protein uzrokuje nakupljanje imunskih stanica, makrofaga, u zglobovima te dovodi do stvaranja izraslina. Blokiranjem receptora CSF1R ovaj lijek smanjuje aktivnost proteina CSF-1, pa se očekivalo da će to spriječiti rast tumora i ublažiti simptome bolesti.



Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Tvrtka je dostavila rezultate glavnog ispitivanja u koje je bilo uključeno 120 odraslih bolesnika s uznapredovalim tenosinovijalnim gigantomcelularnim tumorom koji se nije mogao liječiti na druge načine. Promatrala se promjena u veličini tumora nakon što su bolesnici 25 tjedana primali ili Turalio ili placebo (prividno liječenje).

Koji su bili glavni razlozi za odbijanje izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet?

Agencija je izrazila zabrinutost zbog toga što je u glavnom ispitivanju, iako se pokazalo da su se tumori u bolesnika liječenih lijekom Turalio smanjili, zabilježeno samo malo ublažavanje simptoma kao što su bol i sposobnost pokretanja zglobova. Nije bilo jasno koliko dugo ti učinci traju. Ozbiljnu zabrinutost izazvali su također nepredvidljivi, potencijalno opasni po život, učinci lijeka Turalio na jetru.

Stoga je Agencija smatrala da koristi od lijeka Turalio ne nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučila odbijanje izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Ima li ovo odbijanje izdavanja odobrenja posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima ili u programima milosrdnog davanja lijekova?

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

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju ili programu milosrdnog davanja lijekova te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vas liječi.