



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

A Vioice-ra (alpelizib) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

2023. október 30-án a Novartis visszavonta a PIK3CA-kapcsolt túlnövekedési spektrum (PROS) kezelésére szánt Vioice forgalombahozatali engedélye iránti kérelmét; a PROS egy olyan genetikai betegség, amely számos tünetet, köztük malformációkat és rendellenes növekedést, valamint több szövetet, például a bőrt, a csontokat, a véredényeket, illetve az agyat érintő tumorokat okoz.

Milyen típusú gyógyszer a Vioice és milyen alkalmazásra szánták?

A Vioice-t olyan felnőttek és legalább 2 éves gyermekek kezelésére fejlesztették ki, akiknél a PROS súlyos vagy életveszélyes tünetei szisztémás terápiát (az egész testet érintő kezelést) igényelnek.

A Vioice hatóanyaga az alpelizib, és szájon át alkalmazandó tabletták formájában kívánták forgalomba hozni.

A Vioice-t 2021. március 26-án a PROS tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerré” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ [itt](#) található.

Hogyan fejt ki hatását a Vioice?

A PROS-ban szenvedő betegeknél a *PIK3CA* nevű gén mutációi (elváltozásai) a sejtek növekedésében szerepet játszó egyik enzim (a PI3-kináz) aktiválásához vezetnek. Ez a szövetek rendellenes növekedését (tumorok) és malformációkat eredményez.

A Vioice hatóanyaga, az alpelizib, gátolja az enzim működését, és a várakozások szerint enyhítette volna a PROS tüneteit.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy olyan vizsgálatból származó adatokat nyújtott be, amelyben 18, PROS-ban szenvedő olyan felnőtt, valamint 39 olyan gyermek és serdülő vett részt, akik egy engedélyezés előtti kezelési program részeként Vioice-t kaptak. A betegeknél a PROS súlyos vagy életveszélyes tünetekkel járt, amelyek szisztémás terápiát tettek szükségessé. A hatásosság fő mutatója azoknak a betegeknél a

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



száma volt, akiknél 24 hetes kezelés után legalább 20%-kal csökkent egy-három rendellenes elváltozás vagy tumor mérete.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által benyújtott dokumentációt, és kidolgozta a kérdéssort. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt az utolsó kérdéssorra.

Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok és a vállalat által az Ügynökség kérdéseire adott válaszok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Vioice alkalmazása nem engedélyezhető a PROS kezelésére.

Az Ügynökség úgy vélte, hogy a vizsgálatból származó adatok nem elégségesek annak igazolására, hogy a gyógyszer pontosan milyen hatást gyakorol a tumorok méretére, és hogy a betegek számára valószínűleg jelent-e a tumor méretének csökkenése. Továbbá, bár a PROS különféle típusú szindrómákat foglal magában, a Vioice hatása csak az egyik ilyen szindróma esetében volt megfigyelhető. Végül, a gyógyszer hosszú távú biztonságossága, és különösen a gyermekek növekedésére és fejlődésére gyakorolt hatása nem ismert.

Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség véleménye az volt, hogy a vállalat nem nyújtott be elegendő adatot a Vioice-ra vonatkozó kérelem alátámasztásához.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy több időre van szüksége ahhoz, hogy további adatokat szerezzen be a Vioice értékelésének alátámasztására.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a visszavonásnak a Vioice-szal végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban/korlátozott hozzáférésű programokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vagy engedélyezés előtti kezelési programban/korlátozott hozzáférésű programban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.