



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2023. május 25.
EMA/271425/2023
EMA/H/C/004867

A Sohonos-ra (palovarotén) vonatkozó forgalombahozatali engedély elutasítása

A felülvizsgálat megerősíti az elutasítást

Eredeti véleményének felülvizsgálatát követően az Európai Gyógyszerügynökség megerősítette a fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP) kezelésére szánt Sohonos-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély elutasítására irányuló ajánlását. Az FOP egy ritka genetikai betegség, amely a csontrendszeren kívül található helyeken okoz további csontszövetképződést (ezt a folyamatot heterotóp csontképződésnek nevezik), például az ízületekben, az izmokban, az inakban és a szalagokban, ami fokozatosan csökkenő mobilitáshoz és más súlyos károsodásokhoz vezet.

Az Ügynökség 2023. május 25-én adta ki a felülvizsgálatot követő véleményét. Az Ügynökség az eredeti véleményét 2023. január 26-án adta ki. A Sohonos engedélyezését kérelmező vállalat, az Ipsen Pharma az Európai Gyógyszerügynökség eredeti véleményének felülvizsgálatát kérte.

Milyen típusú gyógyszer a Sohonos és milyen alkalmazásra szánták?

A Sohonos-t az FOP-ben szenvedő felnőtteknél és gyermekeknél (8 évesnél idősebb lányoknál és 10 évesnél idősebb fiúknál) az ízületekben, az izmokban, az inakban és a szalagokban végbemenő rendellenes csontképződés csökkentésére szánták. A gyógyszer hatóanyaga a palovarotén, és szájon át, naponta alkalmazandó kapszula formájában kívánták forgalomba hozni.

A Sohonos-t 2014. november 19-én az FOP kezelése tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-14-1368.

Hogyan fejti ki hatását a Sohonos?

A Sohonos hatóanyaga, a palovarotén a retinoidok néven ismert gyógyszerek osztályába tartozik. A csontképződésben részt vevő sejtekben jelen lévő retinsav receptorhoz (gamma) kötődik. Ezekhez a receptorokhoz kötődve a gyógyszer a csontképződést csökkentő folyamatokat indít el. Ez a várakozások szerint enyhítette volna a betegség tüneteit.

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



Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat egy fő vizsgálat eredményeit nyújtotta be, amelyben 107, FOP-ben szenvedő felnőtt és gyermek vett részt. A vizsgálat valamennyi résztvevője Sohonos-t kapott, és a vizsgálati eredményeket egy második vizsgálat eredményeivel hasonlították össze, amelyben 114 olyan, FOP-ben szenvedő beteg vett részt, akik nem részesültek kezelésben.

A fő vizsgálatban a hatásosság fő mutatója a betegeknek újonnan képződött heterotóp csontszövet mennyiségének változása volt.

Melyek voltak a forgalombahozatali engedély elutasításának fő okai?

Az eredeti értékelés idején az Ügynökség úgy ítélte meg, hogy a gyógyszer előnyeire vonatkozóan nem lehet határozott következtetéseket levonni, mivel a kérelmező következtetése olyan utólagos elemzésen alapult, amely sem tudományosan, sem klinikailag nem volt megalapozott, továbbá az előre meghatározott vizsgálati célok nem teljesültek. Ezenfelül más vizsgálatokból származó eredmények és a rendelkezésre álló, korlátozott hosszú távú klinikai adatok nem támasztották alá a hatásosságot. Ami a biztonságosságot illeti, a vállalat által javasolt kockázatminimalizáló intézkedésekkel nem lehetett megfelelően mérsékelni a physealis korai záródásának (a hosszú csontok végén található új csontképződési területek sérülése, amely megakadályozza a csontok normális növekedését) a kockázatát, ami növésben lévő betegeknek a retinoidkezelés ismert kockázata. Ezenkívül az Ügynökség úgy ítélte meg, hogy a hatóanyag minőségével kapcsolatos néhány kérdést nem sikerült megoldani.

Ezek az aggályok nem változtak a benyújtott adatok felülvizsgálatát követően, és az Ügynökség véleménye ezért továbbra is az volt, hogy a Sohonos minőségét, biztonságosságát és hatásosságát nem igazolták megfelelően. Az Ügynökség ezért arra a következtetésre jutott, hogy a Sohonos előnyei nem haladják meg a kockázatokat, és a forgalombahozatali engedély kiadásának elutasítását javasolta.

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

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a Sohonos-szal végzett klinikai vizsgálatokban vagy engedélyezés előtti kezelési programokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következmények.

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