



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2023 m. lapkričio 10 d.  
EMA/492147/2023  
EMA/H/C/005468

## Paraiškos gauti Vioice (alpelisibo) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

2023 m. spalio 30 d. bendrovė „Novartis“ atsiėmė savo paraišką gauti Vioice, skirtą su PIK3CA susijusio pagreitėjusio augimo spektro (angl. *PIK3CA-related overgrowth spectrum*, PROS) – genetinės ligos, kuri sukelia daug įvairių simptomų, įskaitant formavimosi ydas ir nenormalų augimą arba navikus, kurie pažeidžia kelis audinius, pvz., odą, kaulus, kraujagysles ir galvos smegenis – gydymui, registracijos pažymėjimą.

### Kas yra Vioice ir kokiais atvejais jį buvo numatyta vartoti?

Vioice buvo kuriamas kaip vaistas, skirtas gydyti suaugusiuosius ir vaikus nuo 2 metų, kuriems pasireiškia sunkūs arba gyvybei pavojingi PROS simptomai, dėl kurių jiems būtinas sisteminis (visą organizmą veikiantis) gydymas.

Vioice sudėtyje yra veikliosios medžiagos alpelisibo, ir jį buvo numatyta tiekti geriamųjų tablečių forma.

2021 m. kovo 26 d. Vioice buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal PROS gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite [Agentūros tinklalapyje](#).

### Kaip veikia Vioice?

PROS sergančių pacientų organizme dėl geno *PIK3CA* mutacijų (pakitimų) suaktyvinamas ląstelėms augant dalyvaujantis fermentas PI3 kinazė. Tai lemia nenormalų audinių (navikų) augimą ir formavimosi ydas.

Veiklioji Vioice medžiaga alpelisibas slopina šio fermento veikimą ir tikėtasi, kad dėl tokio poveikio palengvės pacientams pasireiškiantys PROS simptomai.

### Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė tyrimo, kuriame dalyvavo 18 PROS sergančių suaugusiųjų ir 39 šia liga sergantys vaikai bei paaugliai, kurie vartojo Vioice pagal labdarinio vartojimo programą, duomenis. Šiems

---

**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



pacientams pasireiškė sunkūs arba gyvybei pavojingi PROS simptomai, dėl kurių jiems buvo būtinas sisteminis gydymas. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientų, kuriems nustatytų vieno–trijų auglių ar navikų bendras dydis per 24 gydymo savaites sumažėjo bent 20 proc., skaičius.

## **Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?**

Paraiška atsiimta po to, kai Europos vaistų agentūra buvo įvertinusi bendrovės pateiktą informaciją ir parengusi klausimus. Paraiškos atsiėmimo metu bendrovė dar nebuvo atsakiusi į paskutinį kartą pateiktus klausimus.

## **Kokia tuo metu buvo Agentūros rekomendacija?**

Remdamasi peržiūretais duomenimis ir bendrovės atsakymais į pirmuosius Agentūros klausimus, paraiškos atsiėmimo metu Agentūra dar turėjo abejonių ir buvo priėmusi negalutinę nuomonę, kad Vijoice negali būti registruotas PROS gydymui.

Agentūra laikėsi nuomonės, kad šio tyrimo duomenų nepakanka, siekiant tiksliai įrodyti, kokį poveikį šis vaistas turi navikų dydžiui ir ar pacientams iš tikrųjų naudingas navikų dydžio sumažėjimas. Be to, nors PROS apima įvairių rūšių sindromus, Vijoice poveikis buvo nustatytas tik vieno iš šių sindromų atveju. Galiausiai, ilgalaikis šio vaisto saugumas, ypač jo poveikis vaikų augimui ir vystymuisi, nežinomas.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu Agentūra laikėsi nuomonės, kad kartu su paraiška bendrovė pateikė nepakankamai duomenų.

## **Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?**

[Laiške](#), kuriuo Agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, kad jai reikia daugiau laiko, siekiant surinkti papildomų duomenų Vijoice vertinimui pagrįsti.

## **Ar šios paraiškos atsiėmimas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?**

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, dalyvaujantiems Vijoice klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo ir (arba) kontroliuojamos prieigos programose.

Jeigu dalyvaujate klinikiname tyrime arba labdaringo vartojimo ir (arba) kontroliuojamos prieigos programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, pasikalbėkite su savo klinikinio tyrimo gydytoju.