



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2023 m. gegužės 25 d.
EMA/271428/2023
EMA/H/C/004867

Atsisakymas suteikti Sohonos (palovaroteno) registracijos pažymėjimą

Po pakartotinio nagrinėjimo patvirtinta nepalanki nuomonė

Iš naujo išnagrinėjusi pirminę nuomonę, Europos vaistų agentūra patvirtino savo rekomendaciją atsisakyti suteikti Sohonos, skirto progresyviai kaulėjančiai fibrodisplazijai (FOP) gydyti, registracijos pažymėjimą. FOP yra reta genetinė liga, dėl kurios papildomi kauliniai dariniai formuojasi už skeleto ribų (vyksta procesas, vadinamas heterotopiniu kaulėjimu), pvz., sąnariuose, raumenyse, sausgyslėse ir raiščiuose, dėl to palaipsniui mažėja judumas ir atsiranda kitų sunkių sutrikimų.

Agentūra pateikė savo nuomonę po pakartotinio nuomonės nagrinėjimo 2023 m. gegužės 25 d. Pirminę nuomonę Agentūra buvo paskelbusi 2023 m. sausio 26 d. Bendrovė „Ipsen Pharma“, kuri pateikė paraišką gauti Sohonos registracijos pažymėjimą, paprašė pakartotinai išnagrinėti EMA pirminę nuomonę.

Kas yra Sohonos ir kokiais atvejais buvo numatyta jį vartoti?

Sohonos buvo numatyta skirti FOP sergantiems suaugusiems ir vaikams (vyresniems nei 8 metų mergaitėms ir vyresniems nei 10 metų berniukams), siekiant sumažinti patologinį kaulo formavimąsi sąnariuose, raumenyse, sausgyslėse ir raiščiuose. Vaisto sudėtyje yra veikliosios medžiagos palovaroteno. Jį buvo numatyta tiekti kasdien geriamą kapsulių forma.

2014 m. lapkričio 19 d. Sohonos buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal FOP gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-14-1368.

Kaip veikia Sohonos?

Sohonos veiklioji medžiaga palovarotenas priklauso vaistų, vadinamų retinoidais, klasei. Jis jungiasi prie retino rūgšties (gama) receptoriaus, kurio yra kaulams formuotis padedančiose ląstelėse. Jungdamasis prie šių receptorių, vaistas suaktyvina procesus, dėl kurių sulėtėja kaulų formavimasis. Tikėtasi, kad tai palengvins šios ligos simptomus.

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



Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė vieno pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo FOP sergantys 107 suaugusieji ir vaikai, rezultatus. Visiems tyrimo dalyviams buvo skiriamas Sohonos, o tyrimo rezultatai buvo lyginami su antrojo tyrimo, kuriame dalyvavo 114 FOP sergančių pacientų, kuriems nebuvo taikytas joks gydymas, rezultatais.

Pagrindinis veiksmingumo rodiklis pagrindiniame tyrime buvo pacientų organizme naujai atsiradusių heterotopinio kaulėjimo darinių skaičiaus pokytis.

Kokios buvo pagrindinės priežastys, dėl kurių rekomenduota neišduoti registracijos pažymėjimo?

Pirminio vertinimo metu Agentūra laikėsi nuomonės, kad tvirtų išvadų dėl vaisto naudos padaryti negalima, nes pareiškėjo išvada buvo pagrįsta *post-hoc* analize, kuri nebuvo nei moksliskai, nei kliniskai pagrįsta, be to, nebuvo pasiekti iš anksto nustatyti tyrimo tikslai. Be to, vaisto veiksmingumo nepatvirtino kitų tyrimų rezultatai ir negausūs ilgalaikiai klinikiniai duomenys. Kalbant apie saugumą, bendrovės pasiūlytomis rizikos mažinimo priemonėmis nepavyko tinkamai sušvelninti ankstyvo kaulų zonų užsivėrimo rizikos (kai pažeidžiamos naujų kaulų augimo zonos ilgų kaulų gale ir dėl to sutrinka įprastas kaulų augimas), kuri yra žinoma augančių pacientų gydymo retinoidais grėsmė. Be to, Agentūra laikėsi nuomonės, kad nebuvo išspręsti ir kai kurie veikliosios medžiagos kokybės klausimai.

Iš naujo išnagrinėjus pateiktus duomenis, šie susirūpinimą keliantys klausimai nebuvo išspręsti, todėl Agentūra ir toliau laikėsi nuomonės, kad Sohonos kokybė, saugumas ir veiksmingumas nebuvo pakankamai įrodyti. Todėl Agentūra laikėsi nuomonės, kad Sohonos nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo nesuteikti jo registracijos pažymėjimo.

Ar šis atsisakymas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad šis atsisakymas neturės jokių pasekmių pacientams, dalyvaujantiems Sohonos klinikiniuose tyrimuose arba labdaringo vartojimo programose.

Jeigu dalyvaujate klinikiniame tyrime arba labdaringo vartojimo programoje ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie jums taikomą gydymą, pasikalbėkite su savo gydytoju.