



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2020 m. birželio 26 d.
EMA/336104/2020
EMA/H/C/004832

Atsisakymas išduoti Turalio (peksidartinibo) registracijos pažymėjimą

Europos vaistų agentūra rekomendavo neišduoti Turalio, tenosinovialiniams gigantinių ląstelių navikams gydyti skirto vaisto, registracijos pažymėjimo.

Savo nuomonę Agentūra paskelbė 2020 m. birželio 25 d. Per 15 dienų nuo pranešimo apie šią nuomonę gavimo paraišką dėl registracijos pažymėjimo pateikusi bendrovė „Daiichi Sankyo Europe GmbH“ gali pareikalausti pakartotinai apsvarstyti priimtą nuomonę.

Kas yra Turalio ir kokiais atvejais jį buvo numatyta vartoti?

Turalio buvo sukurtas kaip vaistas, skirtas gydyti suaugusiuosius, kuriems diagnozuoti tenosinovialiniai gigantinių ląstelių navikai, galintys kelti skausmą ir gerokai apriboti fizinę funkciją. Jis skirtas vartoti, kai kitos gydymo priemonės, įskaitant chirurgines operacijas, nebegali būti naudojamos arba netinka. Tenosinovialinis gigantinių ląstelių navikas nėra vėžys; susiformavus tokiam navikui stebimas anomalus audinio prie vidinių sąvarnių paviršių ir sausgyslių, vadinamo sinoviniu dangalu ar sinovija, padidėjimas, sąnaryje ir aplink jį atsirandant augliams.

Turalio sudėtyje yra veikliosios medžiagos peksidartinibo ir jį buvo numatyta tiekti per burną vartojamų kapsulių forma.

2015 m. kovo 19 d. Turalio priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal tenosinovialinių gigantinių ląstelių navikų (lokalizuotų ar išplitusių) gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite Agentūros tinklalapyje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457.

Kaip veikia Turalio?

Turalio sudėtyje esanti veiklioji medžiaga peksidartinibas veikia blokuodama receptorių (taikinių), vadinamą CSF1R, prie kurio prisijungia CSF-1 vadinamas baltymas. Tenosinovialiniuose gigantinių ląstelių navikuose CSF-1 gaminasi dideliais kiekiais, dėl to sąnariuose kaupiasi makrofagais vadinamos imuninės ląstelės ir susiformuoja augliai. Blokuodamas CSF1R vaistas sumažina CSF-1 aktyvumą ir, tikėtina, užkerta kelią naviko augimui ir padeda sumažinti ligos simptomus.



Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė pagrindinio tyrimo, kuriame dalyvavo 120 suaugusiųjų su progresavusiais tenosinovialiniais gigantinių ląstelių navikais, kurių neišmanoma gydyti kitomis priemonėmis, rezultatus. Jame buvo vertinami naviko dydžio pokyčiai pacientams vartojant Turalio ar placebo (preparatą be veikliosios medžiagos) 25 savaites.

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

Agentūrai kilo susirūpinimas dėl to, kad nors pagrindiniame tyrime buvo nustatyta, kad Turalio gydomų pacientų navikai sumažėjo, tokie simptomai, kaip skausmas ir galimybė naudoti sąnarį, pagerėjo tik šiek tiek. Nenuostabi, kokia yra šio poveikio trukmė. Taip pat kilo rimtas susirūpinimas dėl nenusipėjimo, galbūt gyvybei pavojingo Turalio poveikio kepenims.

Todėl Agentūra laikėsi nuomonės, kad Turalio nauda nėra didesnė už jo keliamą riziką ir rekomendavo neišduoti šio vaisto 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 Turalio 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.