



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2023. gada 10. novembris
EMA/492147/2023
EMA/H/C/005468

Zāļu Vijoice (alpelisibs) reģistrācijas apliecības pieteikuma atsaukšana

2023. gada 30. oktobrī *Novartis* atsauca reģistrācijas apliecības pieteikumu *Vijoice* ar PIK3CA saistīta pāraugšanas spektra (*PROS*) ārstēšanai, kas ir ģenētiska slimība, kura izraisa dažādus simptomus, tostarp anomālijas un anomālu augšanu vai audzējus, kas ietekmē vairākus audus, piemēram, ādu, kaulus, asinsvadus un smadzenes.

Kas ir *Vijoice*, un kādam nolūkam bija paredzēts tās lietot?

Vijoice tika izstrādāta kā zāles, lai ārstētu pieaugušos un bērnus no divu gadu vecuma ar smagiem vai dzīvību apdraudošiem *PROS* simptomiem, kuriem nepieciešama sistēmiska terapija (terapija, kas ietekmē visu organismu).

Vijoice satur aktīvo vielu alpelisibu, un bija paredzēts, ka šīs zāles būs pieejamas iekšķīgi lietojamu tablešu veidā.

2021. gada 26. martā *Vijoice* saņēma statusu "zāles reti sastopamu slimību ārstēšanai" (zāles, ko lieto retu slimību ārstēšanai) *PROS* ārstēšanai. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodamā Eiropas Zāļu [aģentūras tīmekļa vietnē](#):

Kā *Vijoice* darbojas?

Pacientiem ar *PROS*, mutācijām (izmaiņām) gēnā, ko dēvē par *PIK3CA*, izraisa enzīma (PI3 kināzes) aktivāciju, kas ir saistīta ar šūnu augšanu. Tā rezultātā rodas patoloģiska audu (audzēju) augšana un anomālijas.

Vijoice aktīvā viela alpelisibs bloķē fermenta darbību, un tika paredzēts, ka tā mazinās *PROS* simptomus.

Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza datus no pētījuma, kurā piedalījās 18 pieaugušie un 39 bērni un pusaudži ar *PROS*, kuri saņēma *Vijoice* kā daļu no zāļu līdzcietīgas lietošanas programmas. Pacientiem bija smagi vai dzīvībai bīstami *PROS* simptomi, kuriem nepieciešama sistēmiska terapija. Galvenais efektivitātes

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



rādītājs bija to pacientu skaits, kuriem pēc 24 ārstēšanas nedēļām kopējais izmērs bija samazinājies par vismaz 20 % no viena līdz trim patoloģiskiem veidojumiem vai audzējiem.

Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauca?

Pieteikumu atsauca, kad Eiropas Zāļu aģentūra bija izvērtējusi uzņēmuma iesniegto informāciju un sagatavojusi jautājumus. Atsaukšanas brīdī uzņēmums nebija sniedzis atbildes uz pēdējā posma jautājumiem.

Kāds bija aģentūras ieteikums tajā laikā?

Pamatojoties uz izskatītajiem datiem un uzņēmuma atbildēm uz aģentūras jautājumiem, atsaukšanas brīdī aģentūrai bija daži iebildumi un aģentūra provizoriski atzina, ka nevar apstiprināt *Vijoice PROS* ārstēšanai.

Aģentūra uzskatīja, ka pētījuma dati nav pietiekami, lai precīzi pierādītu zāļu ietekmi uz audzēju lielumu un to, vai pacienti faktiski guva labumu no audzēja lieluma samazināšanās. Turklāt, lai gan *PROS* ietver dažādus sindromu veidus, *Vijoice* ietekme tika novērota tikai attiecībā uz vienu no šiem sindromiem. Visbeidzot, zāļu ilgtermiņa drošums, jo īpaši to ietekme uz bērnu augšanu un attīstību, nav zināma.

Tāpēc atsaukšanas brīdī aģentūra uzskatīja, ka uzņēmums nav iesniedzis pietiekami daudz datu pieteikuma pamatošanai.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

[Vēstulē](#), kurā uzņēmums informēja aģentūru par pieteikuma atsaukšanu, tas paziņoja, ka ir nepieciešams vairāk laika papildu datu iegūšanai, lai pamatotu *Vijoice* novērtējumu.

Vai šis atsaukums ietekmē pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās?

Uzņēmums informēja aģentūru, ka atsaukšana neietekmē pacientus, kuri pašlaik piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas/ pārvaldītās piekļuves programmās, lietojot *Vijoice*.

Ja piedalāties klīniskajā izmēģinājumā vai līdzcietīgas lietošanas/pārvaldītās piekļuves programmā un jums vajadzīga plašāka informācija par ārstēšanu, sazinieties ar savu klīniskā izmēģinājuma ārstu.