



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2020. gada 26. jūnijs
EMA/336104/2020
EMA/H/C/004832

Turalio (peksidartinība) reģistrācijas apliecības atteikums

Eiropas Zāļu aģentūra ieteica atteikt reģistrācijas apliecības izsniegšanu *Turalio*, zālēm, kas paredzētas tenosinoviālā milzšūnu audzēja ārstēšanai.

Aģentūra izdeva atzinumu 2020. gada 25. jūnijā. Uzņēmums *Daiichi Sankyo Europe GmbH*, kas iesniedza reģistrācijas apliecības pieteikumu, 15 dienu laikā pēc atzinuma saņemšanas var lūgt atzinuma atkārtotu pārskatīšanu.

Kas ir *Turalio* un kādam nolūkam tās bija paredzēts lietot?

Turalio tika izstrādātas kā zāles tenosinoviālā milzšūnu audzēja ārstēšanai pieaugušajiem; šī slimība var izraisīt sāpes un ievērojami samazināt fizisko funkciju. Tās bija paredzēts lietot, kad vairs nevar izmantot citas ārstēšanas iespējas, tostarp ķirurģisko ārstēšanu, vai tās nav piemērotas.

Tenosinoviālais milzšūnu audzējs ir nejaundabīga slimība, kuras gadījumā audi, kas aptver locītavu iekšējo virsmu un cīpslas, saukti par sinoviālo membrānu jeb sinoviju, patoloģiski palielinās un veido audzējus locītavā un ap to.

Turalio satur aktīvo vielu peksidartinību, un bija paredzēts, ka šīs zāles būs pieejamas kā iekšķīgi lietojamas kapsulas.

Turalio 2015. gada 19. martā tika piešķirts retu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss tenosinoviālā milzšūnu audzēja ārstēšanai. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodamā Eiropas Zāļu aģentūras tīmekļa vietnē:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457.

Kā *Turalio* darbojas?

Turalio aktīvā viela peksidartinibs darbojas, bloķējot receptoru (mērķi), ko dēvē par CSF1R un kuram piesaistās olbaltumviela ar nosaukumu CSF-1. Tenosinoviālais milzšūnu audzējs ražo lielu daudzumu CSF-1, un tas liek imūnšūnām makrofāgiem uzkrāties locītavās un izraisa izaugumus. Bloķējot CSF1R, zāles samazina CSF-1 aktivitāti, un bija paredzēts, ka tas novērsīs audzēja augšanu un palīdzēs mazināt slimības simptomus.



Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza rezultātus no pamatpētījuma, kurā bija iesaistīti 120 pieaugušie ar progresējušu tenosinoviālo milzšūnu audzēju, ko nevarēja ārstēt citā veidā. Pētījumā tika vērtētas audzēja lieluma izmaiņas pēc tam, kad pacienti 25 nedēļas bija saņēmuši *Turalio* vai placebo (zāļu imitāciju).

Kādi bija galvenie iemesli reģistrācijas apliecības atteikumam?

Aģentūrai bija iebildumi par to, ka, lai gan pamatpētījumā tika konstatēta audzēju samazināšanās ar *Turalio* ārstētajiem pacientiem, bija tikai neliels simptomu uzlabojums, piemēram, saistībā ar sāpēm un spēju izmantot locītavu. Nebija skaidrs, cik ilgi saglabājas šī iedarbība. Bija arī nopietni iebildumi pret *Turalio* neparedzamo, potenciāli dzīvībai bīstamo ietekmi uz aknām.

Tādēļ aģentūra uzskatīja, ka *Turalio* sniegtais ieguvums nepārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica neizsniegt šo zāļu reģistrācijas apliecību.

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

Uzņēmums informēja aģentūru, ka atteikums neietekmē pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmās ar *Turalio*.

Ja Jūs pašlaik piedalāties klīniskā pētījumā vai līdzcietīgas zāļu lietošanas programmā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par terapiju, jautājiet savam ārstam.