



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10 ta' Novembru 2023
EMA/492147/2023
EMA/H/C/005468

L-irtirar tal-applikazzjoni għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Vioice (alpelisib)

Fit-30 ta' Ottubru 2023, Novartis irtirat l-applikazzjoni tagħha għal awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Vioice għall-kura tas-sindromu ta' tkabbir eċċessiv relatat mal-PIK3CA (PROS), kundizzjoni ġenetika li tikkawża firxa ta' sintomi, inklużi malformazzjonijiet u tkabbir anormali jew tumuri li jaffettwaw diversi tessuti, bħall-ġilda, l-għadam, il-važi u l-moħħ.

X'inhu Vioice u għal xiex kien mistenni li jintuża?

Vioice ġie żviluppat bħala mediċina għall-kura ta' adulti u tfal minn sentejn 'il fuq b'sintomi severi jew ta' theddida għall-ħajja tal-PROS li kienu jirrikjedu terapija sistemika (terapija li taffettwa l-ġisem kollu).

Vioice fih is-sustanza attiva alpelisib u kellu jiġi bħala pilloli li għandhom jittieħdu mill-ħalq.

Vioice ġie kklassifikat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fis-26 ta' Marzu 2021 għall-kura ta' PROS. Aktar tagħrif dwar il-klassifikazzjoni orfni jista' jinstab fuq is-[sit web tal-Aġenzija](#):

Kif jaħdem Vioice?

F'pazjenti bi PROS, mutazzjonijiet (bidliet) f'ġene *msejjaħ* PIK3CA jwasslu għall-attivazzjoni ta' enzima (PI3 kinazi) li hija involuta fit-tkabbir taċ-ċelloli. Dan jirriżulta fit-tkabbir anormali tat-tessuti (tumuri) u tal-malformazzjonijiet.

Is-sustanza attiva f'Vioice, l-alpelisib, timblokka l-azzjoni tal-enzima u kienet mistennija li tnaqqas is-sintomi tal-PROS.

X'dokumentazzjoni pprezentat il-kumpanija biex tappoġġa l-applikazzjoni tagħha?

Il-kumpanija pprezentat *data* minn studju li kien jinvolvi 18-il adult u 39 tifel u tifla u adolexxenti bi PROS li kienu qed jingħataw Vioice bħala parti minn programm ta' użu b'kumpassjoni. Il-pazjenti kellhom sintomi severi jew ta' periklu għall-ħajja ta' PROS li kienu jirrikjedu terapija sistemika. Il-kejl

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



ewlieni tal-effikaċja kien l-għadd ta' pazjenti li, wara 24 ġimgħa ta' kura, kellhom tnaqqis ta' mill-inqas 20 % fid-daqs totali ta' bejn wiehded u tliet tkabbir anormali jew tumuri.

Sa fejn kienet waslet l-evalwazzjoni tal-applikazzjoni qabel ma din ġiet irtirata?

L-applikazzjoni ġiet irtirata wara li l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini kienet evalwat l-informazzjoni mill-kumpanija u hejjiet mistoqsijiet. Il-kumpanija kienet għadha ma wegħbitx għall-aħħar sensiela ta' mistoqsijiet fiż-żmien tal-irtirar.

X'kienet ir-rakkomandazzjoni tal-Aġenzija dak iż-żmien?

Fuq il-bażi tar-reviżjoni tad-*data* u t-tweġiba tal-kumpanija għall-mistoqsijiet inizjali tal-Aġenzija, fiż-żmien tal-irtirar, l-Aġenzija kellha xi tħassib u l-opinjoni proviżorja tagħha kienet li Vioice ma setax jiġi awtorizzat għall-kura tal-PROS.

L-Aġenzija kkunsidrat li d-*data* mill-istudju ma kinitx biżżejjed biex turi eżattament x'effett kellha l-mediċina fuq id-daqs tat-tumuri u jekk il-pazjenti fil-fatt ibbenefikawx minn xi tnaqqis fid-daqs tat-tumur. Barra minn hekk, għalkemm PROS jinkludi tipi differenti ta' sindromi, effett ta' Vioice deher biss għal wiehded minn dawn is-sindromi. Fl-aħħar nett, is-sigurtà fit-tul tal-mediċina, b'mod partikolari l-effetti tagħha fuq it-tkabbir u l-iżvilupp fit-tfal, mhijiex magħrufa.

Għalhekk, fiż-żmien tal-irtirar, l-opinjoni tal-Aġenzija kienet li l-kumpanija ma kinitx ipprovdiet biżżejjed *data* biex tappoġġa l-applikazzjoni.

X'kienu r-raġunijiet mogħtija mill-kumpanija għall-irtirar tal-applikazzjoni?

[Fl-ittra](#) tagħha li tinnotifika lill-Aġenzija bl-irtirar tal-applikazzjoni, il-kumpanija sostniet li kienet teħtieġ aktar żmien biex tikseb aktar *data* sabiex tappoġġa l-evalwazzjoni ta' Vioice.

X'inhuma l-konsegwenzi ta' dan l-irtirar għall-pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kumpassjoni?

Il-kumpanija infurmat lill-Aġenzija li l-irtirar ma għandu l-ebda konsegwenza għall-pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kumpassjoni / ta' aċċess immaniġġjat bl-użu ta' Vioice.

Jekk inti qed tiehu sehem fi prova klinika jew fi programm ta' użu b'kumpassjoni / ta' aċċess immaniġġjat u teħtieġ aktar informazzjoni dwar il-kura tiegħek, kellek lit-tabib li jkun qed jagħtik il-kura.