



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 ta' Mejju 2023
EMA/271430/2023
EMA/H/C/004867

Rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Sohonos (palovarotene)

Eżaminazzjoni mill-ġdid jikkonferma r-rifjut

Wara li eżaminat mill-ġdid l-opinjoni inizjali tagħha, l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini kkonfermat ir-rakkomandazzjoni tagħha li tirrifjuta l-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq għal Sohonos, medicina maħsuba għat-trattament ta' fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP). Il-FOP hija marda ġenetika rari li tikkawża l-formazzjoni ta' għadam żejjed f'postijiet barra mill-iskelettru (proċess imsejjaħ ossifikazzjoni eterotopika) bħal fil-ġogi, fil-muskoli, fl-għeruq u fil-ligamenti, li twassal għal mobbiltà dejjem tonqos u indebolimenti severi oħra.

L-Aġenzija ħarġet l-opinjoni tagħha wara eżaminazzjoni mill-ġdid fil-25 ta' Mejju 2023. L-Aġenzija kienet ħarġet l-opinjoni inizjali tagħha fis-26 ta' Jannar 2023. Il-kumpanija li applikat għall-awtorizzazzjoni ta' Sohonos, Ipsen Pharma, kienet talbet eżaminazzjoni mill-ġdid tal-opinjoni inizjali tal-EMA.

X'inhu Sohonos u għal xiex kien maħsub?

Sohonos kien maħsub biex inaqqas il-formazzjoni anormali tal-għadam fil-ġogi, fil-muskoli, fl-għeruq u fil-ligamenti fl-adulti u fit-tfal (li għandhom aktar minn 8 snin fil-bniet u aktar minn 10 snin fis-subien) bil-FOP. Fih is-sustanza attiva palovarotene u kellu jiġi bħala kapsuli li għandhom jittieħdu mill-ħalq kuljum.

Sohonos ġie kklassifikat bħala "medicina orfni" (medicina li tintuża f'mard rari) fid-19 ta' Novembru 2014 għat-trattament tal-FOP. Aktar tagħrif dwar il-klassifikazzjoni orfni jista' jinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-14-1368.

Kif jaħdem Sohonos?

Is-sustanza attiva f'Sohonos, il-palovarotene, tappartjeni għal klassi ta' medicini magħrufa bħala retinojdi. Din teħel mar-riċettur tal-aċidu retinojku (gamma), li huwa preżenti fiċ-ċelloli li huma involuti fil-formazzjoni tal-għadam. Billi teħel ma' dawn ir-riċetturi, il-medicina tattiva proċessi li jnaqqsu l-formazzjoni tal-għadam. Dan kien mistenni li jtaffi s-sintomi tal-kundizzjoni.

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



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

Il-kumpanija pprovdiet riżultati minn studju ewlieni wieħed li kien jinvolvi 107 adulti u tfal bil-FOP. Il-parteċipanti kollha fl-istudju ngħataw Sohonos u r-riżultati tal-istudju tqabblu ma' dawk ta' studju ieħor li kien jinvolvi 114-il pazjent bil-FOP li ma ngħataw l-ebda trattament.

Il-kejl ewlieni tal-effettività fl-istudju ewlieni kien il-bidla fl-ammont ta' ossifikazzjonijiet eterotopiċi żviluppatti għodda fil-pazjenti.

X'kienu r-raġunijiet ewlenin għar-rifjut tal-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq?

Fiż-żmien tal-evalwazzjoni inizjali, l-Aġenzija qieset li ma setgħet tinstilet l-ebda konkluzjoni soda dwar il-benefiċċji tal-medicina, peress li l-konkluzjoni tal-applikant kienet ibbażata fuq analiżi *post-hoc* li la kienet iġġustifikata xjentifikament u lanqas klinikament u l-objettivi tal-istudju speċifikati minn qabel ma ntlawhqux. Barra minn hekk, ir-riżultati minn studji oħra u *d-data* klinika limitata fuq terminu twil disponibbli ma appoġġaw l-effikaċja. Fir-rigward tas-sigurtà, ir-riskju ta' għeluq prematur tas-saffi tat-tkabbir (perturbazzjoni fiż-żoni ta' tkabbir ta' għadam ġdid fit-tarf ta' għadam twil, li jżommhom milli jikbru b'mod normali), li huwa riskju magħruf bit-trattament bir-retinojdi f'pazjenti li qed jikbru, ma setax jittaffa b'mod adegwat bil-miżuri ta' minimizzazzjoni tar-riskju proposti mill-kumpanija. Barra minn hekk, l-Aġenzija qieset li xi mistoqsijiet rigward il-kwalità tas-sustanza attiva ma kinux ġew riżolti.

Dan it-tħassib ma nbidilx wara l-eżaminazzjoni mill-ġdid tad-*data* pprovduta, u għalhekk l-opinjoni tal-Aġenzija baqgħet li l-kwalità, is-sigurtà u l-effikaċja ta' Sohonos ma ntwerewx biżżejjed. Għalhekk, l-Aġenzija qieset li l-benefiċċji ta' Sohonos ma kinux jegħlbu r-riskji tiegħu u rrakkomandat li tiġi rifjutata l-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq.

Dan ir-rifjut jaffettwa pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompessjoni?

Il-kumpanija għarrfet lill-Aġenzija li ma hemmx konsegwenzi għall-pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompessjoni b'Sohonos.

Jekk inti qed tieħu sehem fi prova klinika jew fi programm ta' użu b'kompessjoni u teħtieġ aktar informazzjoni dwar it-trattament tiegħek, tkellem mat-tabib tiegħek.