



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 juni 2020
EMA/336104/2020
EMA/H/C/004832

Weigering van de vergunning voor het in de handel brengen van Turalio (pexidartinib)

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft een aanbeveling gedaan tot weigering van de vergunning voor het in de handel brengen van Turalio, bedoeld voor de behandeling van tenosynoviale reusceltumor.

Het Geneesmiddelenbureau heeft zijn advies op 25 juni 2020 uitgebracht. De firma die de aanvraag indiende is Daiichi Sankyo Europe GmbH. De firma kan binnen 15 dagen na ontvangst van het advies verzoeken om een heronderzoek van het advies.

Wat is Turalio en voor welke behandeling was het bedoeld?

Turalio werd ontwikkeld als geneesmiddel voor de behandeling van volwassenen met tenosynoviale reusceltumor die pijn kan veroorzaken en de fysieke functie aanmerkelijk kan verlagen. Het was bedoeld voor gebruik wanneer andere behandelingen, waaronder chirurgische ingrepen, niet langer konden worden toegepast of niet geschikt waren. Tenosynoviale reusceltumor is een niet-cancereuze aandoening waarbij het weefsel rondom de binnenste gewrichtsoppervlakken en pezen, genaamd het synoviale slijmvlies of het synovium, abnormaal zwelt en vergroeiingen in en rondom het gewricht vormt.

Turalio bevat de werkzame stof pexidartinib en zou verkrijgbaar zijn in de vorm van capsules voor inname via de mond.

Turalio werd op 19 maart 2015 voor de behandeling van tenosynoviale reusceltumor, gelokaliseerd en diffuus type, aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel vindt u op de website van het Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457.

Hoe werkt Turalio?

De werking van de werkzame stof in Turalio, pexidartinib, berust op het blokkeren van een receptor (doelwit) genaamd CSF1R waaraan het eiwit CSF-1 zich bindt. CSF-1 wordt in grote hoeveelheden aangemaakt door tenosynoviale reusceltumoren en zorgt ervoor dat immuuncellen genaamd macrofagen zich in de gewrichten ophopen, waardoor de vergroeiingen ontstaan. Door CSF1R te



blokkeren, vermindert het geneesmiddel de activiteit van CSF-1, wat naar verwachting de tumorgroei zou voorkomen en de symptomen van de ziekte zou helpen verminderen.

Welke documentatie heeft de firma ingediend als ondersteuning van de aanvraag?

De firma overlegde resultaten van een hoofdonderzoek onder 120 volwassenen met gevorderde tenosynoviale reusceltumor die niet op een andere manier kon worden behandeld. Er werd gekeken naar de verandering van de tumorgrootte nadat patiënten gedurende 25 weken ofwel Turalio ofwel placebo (een schijnbehandeling) toegediend hadden gekregen.

Wat waren de voornaamste redenen om de handelsvergunning te weigeren?

Hoewel uit het hoofdonderzoek bleek dat de tumoren slonken bij patiënten die met Turalio werden behandeld, was het Geneesmiddelenbureau bezorgd over het feit dat er slechts sprake was van een kleine verbetering van de symptomen zoals pijn en het vermogen om het gewricht te gebruiken. Het was niet duidelijk hoe lang dit effect aanhoudt. Er bestond ook ernstige bezorgdheid over onvoorspelbare, potentieel levensbedreigende effecten van Turalio op de lever.

Daarom was het Geneesmiddelenbureau van mening dat de voordelen van Turalio niet opwogen tegen de risico's ervan en adviseerde het de handelsvergunning te weigeren.

Heeft deze intrekking gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend?

De firma deelde het Geneesmiddelenbureau mee dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die momenteel deelnemen aan klinische proeven met Turalio, noch voor patiënten die het geneesmiddel met speciale toestemming krijgen toegediend.

Indien u deelneemt aan een klinische proef of het geneesmiddel met speciale toestemming krijgt en meer informatie wenst over uw behandeling, neemt u dan contact op met uw arts.