



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10 listopada 2023 r.
EMA/492147/2023
EMA/H/C/005468

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Vijoje (alpelisyb)

W dniu 30 października 2023 r. firma Novartis wycofała wniosek o dopuszczenie do obrotu produktu Vijoje, który miał być stosowany w leczeniu syndromu przerostowego związanego z mutacją genu *PIK3CA* (PROS) – choroby genetycznej przejawiającej się licznymi objawami, w tym malformacjami i nieprawidłowym wzrostem bądź powstawaniem guzów w różnych tkankach, takich jak skóra, kości, naczynia krwionośne i mózg.

Co to jest produkt Vijoje i w jakim celu miał być stosowany?

Lek Vijoje opracowano jako lek do stosowania w leczeniu osób dorosłych i dzieci w wieku od 2 lat z ciężkimi lub zagrażającymi życiu objawami PROS wymagającymi terapii ogólnoustrojowej (terapii, która ma wpływ na cały organizm).

Substancją czynną zawartą w leku Vijoje jest alpelisyb; lek miał być dostępny w postaci tabletek przyjmowanych doustnie.

W dniu 26 marca 2021 r. lek Vijoje uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu PROS. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć [na stronie Agencji](#).

Jak działa produkt Vijoje?

U pacjentów z PROS mutacje (zmiany) w obrębie genu *PIK3CA* prowadzą do aktywacji enzymu (kinazy PI3) uczestniczącego we wzroście komórek. Prowadzi to do nieprawidłowego wzrostu tkanek (powstawania guzów) i malformacji.

Substancja czynna leku Vijoje, alpelisyb, blokuje działanie enzymu; oczekiwano, że ograniczy to objawy PROS.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła dane z badania z udziałem 18 osób dorosłych oraz 39 dzieci i młodzieży z PROS, którzy otrzymywali lek Vijoje w ramach programu leczenia ostatniej szansy. U pacjentów występowały ciężkie lub zagrażające życiu objawy PROS wymagające terapii ogólnoustrojowej. Głównym kryterium

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



oceny skuteczności była liczba pacjentów, u których po 24 tygodniach leczenia doszło do zmniejszenia całkowitego rozmiaru jednej do trzech nieprawidłowych zmian bądź guzów o co najmniej 20%.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez Europejską Agencję Leków oceny informacji przedłożonych przez firmę i sformułowaniu listy pytań. Firma wycofała wniosek przed udzieleniem odpowiedzi na ostatnią serię pytań.

Jakie zalecenia wydała wówczas Agencja?

W momencie wycofania wniosku Agencja zgłosiła pewne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i odpowiedzi firmy na wstępne pytania Agencji i wstępna opinia wskazywała, że produkt Viojice nie może być zatwierdzony w leczeniu PROS.

Agencja uznała, że dane z badania nie są wystarczające, aby dokładnie wykazać, jak lek wpłynął na rozmiar guzów i czy pacjenci odnieśli rzeczywiste korzyści ze zmniejszenia rozmiaru guza. Choć PROS obejmuje różne rodzaje zespołów, działanie leku Viojice zaobserwowano tylko w przypadku jednego z nich. Ponadto bezpieczeństwo długoterminowego stosowania leku, a w szczególności wpływ na wzrost i rozwój dzieci są nieznane.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem Agencji firma nie dostarczyła wystarczającej ilości danych na poparcie wniosku.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim [piśmie](#) powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że potrzebuje więcej czasu na uzyskanie dodatkowych danych na potrzeby procesu oceny produktu Viojice.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy?

Firma powiadomiła Agencję, że wycofanie nie niesie żadnych skutków dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych lub programach leczenia ostatniej szansy / wczesnego dostępu z użyciem produktu Viojice.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub programie leczenia ostatniej szansy / wczesnego dostępu i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie kliniczne.