



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10 noiembrie 2023
EMA/492147/2023
EMA/H/C/005468

Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Vioice (alpelisib)

La 30 octombrie 2023, Novartis și-a retras cererea de autorizare de punere pe piață pentru Vioice pentru tratamentul spectrului de sindroame de creștere excesivă asociate PIK3CA (PROS), afecțiune genetică care cauzează o serie de simptome, inclusiv malformații și creștere anormală sau tumori care afectează mai multe țesuturi, cum ar fi pielea, oasele, vasele de sânge și creierul.

Ce este Vioice și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Vioice a fost dezvoltat ca medicament pentru tratamentul adulților și copiilor cu vârsta de cel puțin 2 ani cu simptome de PROS severe sau amenințătoare de viață, care au nevoie de tratament sistemic (tratament care afectează întregul organism).

Vioice conține substanța activă alpelisib și urma să fie disponibil sub formă de comprimate cu administrare orală.

Vioice a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 26 martie 2021 pentru tratamentul PROS. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe [site-ul agenției](#).

Cum acționează Vioice?

La pacienții cu PROS, mutațiile (modificările) la nivelul genei *PIK3CA* duc la activarea unei enzime (PI3 kinază) care este implicată în creșterea celulelor. Acest lucru duce la creșterea anormală a țesuturilor (tumorilor) și la malformații.

Substanța activă din Vioice, alpelisibul, blochează acțiunea enzimei și se preconizează că va reduce simptomele PROS.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat date dintr-un studiu care a cuprins 18 adulți și 39 de copii și adolescenți cu PROS care primeau Vioice ca parte a unui program de uz compasional. Pacienții au prezentat simptome de PROS severe sau amenințătoare de viață, având nevoie de tratament sistemic. Principalul

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



indicator al eficacității a fost numărul de pacienți care, după 24 de săptămâni de tratament, au avut o reducere de cel puțin 20 % a mărimii totale a uneia până la trei excrescențe sau tumori anormale.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce Agenția Europeană pentru Medicamente evaluase informațiile furnizate de companie și pregătise o serie întrebări. În momentul retragerii cererii, compania nu răspunsese încă la ultima rundă de întrebări.

Care a fost recomandarea agenției în momentul respectiv?

Pe baza analizării datelor și a răspunsului companiei la întrebările inițiale ale agenției, în momentul retragerii cererii, agenția avea unele motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu potrivit căruia Vijoice nu putea fi autorizat pentru tratamentul PROS.

Agenția a considerat că datele din studiu nu sunt suficiente pentru a demonstra exact ce efect a avut medicamentul asupra mărimii tumorilor și dacă pacienții au beneficiat efectiv de o reducere a mărimii tumorii. În plus, deși PROS include diferite tipuri de sindroame, s-a observat că Vijoice a avut efect doar pentru unul dintre aceste sindroame. În sfârșit, nu se cunoaște siguranța pe termen lung a medicamentului, în special efectele sale asupra creșterii și dezvoltării la copii și adolescenți.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia agenției, compania nu prezentase suficiente date în sprijinul cererii de autorizare.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În [scrisoarea](#) prin care compania înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că are nevoie de mai mult timp pentru a obține date suplimentare în sprijinul evaluării medicamentului Vijoice.

Retragerea acestei cereri afectează pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?

Compania a informat agenția că retragerea nu are consecințe pentru pacienții aflați în studii clinice sau în programe de uz compasional/de acces gestionat cu Vijoice.

Dacă participați la un studiu clinic sau la un program de uz compasional/acces gestionat și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului din cadrul studiului clinic respectiv.