



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 mai 2023
EMA/271435/2023
EMA/H/C/004867

Refuzul autorizației de punere pe piață pentru Sohonos (palovaroten)

Reexaminarea confirmă refuzul

După reexaminarea avizului său inițial, Agenția Europeană pentru Medicamente a confirmat recomandarea sa de a refuza autorizația de punere pe piață pentru Sohonos, un medicament destinat tratamentului fibrodisplaziei osificante progresive (FOP). FOP este o boală genetică rară care determină formarea de țesut osos suplimentar în locuri din afara scheletului (proces numit osificare heterotopică), de exemplu în articulații, mușchi, tendoane și ligamente, ceea ce duce la scăderea progresivă a mobilității și la alte deficiențe grave.

Agenția a emis avizul după reexaminarea din 25 mai 2023. Agenția emisese avizul inițial la 26 ianuarie 2023. Compania care a solicitat autorizarea Sohonos, Ipsen Pharma, a solicitat reexaminarea avizului inițial al EMA.

Ce este Sohonos și pentru ce a fost conceput?

Sohonos a fost conceput pentru a reduce formarea anormală de os în articulații, mușchi, tendoane și ligamente la adulți și copii (cu vârsta peste 8 ani la fete și peste 10 ani la băieți) cu FOP. Medicamentul conține substanța activă palovaroten și urma să fie disponibil sub formă de capsule cu administrare orală în fiecare zi.

Sohonos a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament utilizat în boli rare) la 19 noiembrie 2014 pentru tratamentul FOP. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-14-1368.

Cum acționează Sohonos?

Substanța activă din Sohonos, palovarotenul, face parte din clasa de medicamente numite retinoizi. Se leagă de receptorul acidului retinoic (gama), care este prezent în celulele implicate în formarea de os. Legându-se de acești receptori, medicamentul activează procesele care reduc formarea de os. Acest lucru ar fi trebuit să atenueze simptomele afecțiunii.

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



© European Medicines Agency, 2023. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele unui studiu principal care a cuprins 107 adulți și copii cu FOP. Tuturor participanților la studiu li s-a administrat Sohonos, iar rezultatele studiului au fost comparate cu cele ale unui al doilea studiu, care a cuprins 114 pacienți cu FOP care nu au primit niciun tratament.

Principală măsură a eficacității din studiul principal a fost modificarea numărului de osificări heterotopice nou dezvoltate la pacienți.

Care au fost principalele motive pentru refuzul autorizației de punere pe piață?

La momentul evaluării inițiale, agenția a considerat că nu se pot trage concluzii ferme cu privire la beneficiile medicamentului, deoarece concluzia solicitantului s-a bazat pe o analiză post-hoc care nu era justificată nici din punct de vedere științific, nici clinic, iar obiectivele prestabilite ale studiului nu erau îndeplinite. În plus, rezultatele obținute din alte studii și datele clinice limitate pe termen lung disponibile nu susțineau eficacitatea. În ceea ce privește siguranța, riscul de închidere fizică prematură (perturbarea zonelor de creștere de os nou de la capătul oaselor lungi, ceea ce le împiedică să crească normal), care este un risc cunoscut asociat tratamentului cu retinoizi la pacienții în creștere, nu a putut fi atenuat în mod adecvat prin măsurile de reducere la minimum a riscurilor propuse de companie. În plus, agenția a considerat că unele întrebări privind calitatea substanței active nu fuseseră soluționate.

Aceste motive de îngrijorare nu s-au schimbat după reexaminarea datelor prezentate și, prin urmare, avizul agenției a rămas că nu au fost demonstrate suficient calitatea, siguranța și eficacitatea Sohonos. Prin urmare, agenția a considerat că beneficiile Sohonos nu depășesc riscurile asociate și a recomandat refuzul autorizației de punere pe piață.

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

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional cu Sohonos.

Dacă participați la un studiu clinic sau la un program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului.