



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10. novembra 2023
EMA/492147/2023
EMA/H/C/005468

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Vijoice (alpelisib)

Dňa 30. októbra 2023 spoločnosť Novartis stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre liek Vijoice na liečbu spektra nadmerného rastu súvisiaceho s PIK3CA (ďalej len „PROS“), genetického ochorenia, ktoré spôsobuje celý rad príznakov vrátane malformácií a abnormálneho rastu alebo nádorov postihujúcich viaceré tkanivá, ako sú koža, kosti, cievy a mozog.

Čo je liek Vijoice a na čo sa mal používať?

Vijoice bol vyvinutý ako liek na liečbu dospelých a detí vo veku od 2 rokov so závažnými alebo život ohrozujúcimi príznakmi PROS, ktoré si vyžadujú systémovú liečbu (liečbu, ktorá ovplyvňuje celé telo).

Liek Vijoice obsahuje liečivo alpelisib a mal byť dostupný vo forme tabliet na užívanie ústami.

Liek Vijoice bol 26. marca 2021 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu PROS. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza na [webovom sídle agentúry](#):

Akým spôsobom liek Vijoice účinkuje?

U pacientov s PROS vedú mutácie (zmeny) v géne nazývanom *PIK3CA* k aktivácii enzýmu (PI3 kinázy), ktorý sa podieľa na raste buniek. Výsledkom je abnormálny rast tkanív (nádory) a malformácie.

Liečivo lieku Vijoice, alpelisib, blokuje účinok enzýmu a očakáva sa, že zmierni príznaky PROS.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť prezentovala údaje zo štúdie, do ktorej bolo zapojených 18 dospelých a 39 detí a dospievajúcich s PROS, ktorí dostávali liek Vijoice v rámci programu na použitie lieku v naliehavých prípadoch. Pacienti mali závažné alebo život ohrozujúce príznaky PROS vyžadujúce systémovú liečbu. Hlavným meradlom účinnosti bol počet pacientov, u ktorých sa po 24 týždňoch liečby zmenšila celková veľkosť jedného až troch abnormálnych výrastkov alebo nádorov aspoň o 20 %.

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



V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila informácie, ktoré spoločnosť predložila, a vypracovala zoznam otázok. Spoločnosť v čase stiahnutia žiadosti ešte neodpovedala na poslednú sériu otázok.

Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na počiatočné otázky agentúry mala agentúra v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek Vijoice nemôže byť povolený na liečbu PROS.

Agentúra usúdila, že údaje zo štúdie neboli dostatočné na to, aby sa presne preukázalo, aký účinok mal liek na veľkosť nádorov a či sa u pacientov skutočne znížila veľkosť nádorov. Okrem toho, hoci PROS zahŕňa rôzne typy príznakov, účinok lieku Vijoice bol pozorovaný len pri jednom z týchto príznakov. Napokon, dlhodobá bezpečnosť lieku, najmä jeho vplyv na rast a vývoj detí, nie je známa.

Agentúra v čase stiahnutia zastávala názor, že spoločnosť nepredložila dostatočné údaje na podporu žiadosti.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že potrebuje viac času na získanie ďalších údajov na podporu hodnotenia lieku Vijoice.

Má stiahnutie žiadosti nejaké dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach alebo na programoch na použitie lieku v naliehavých prípadoch?

Spoločnosť informovala agentúru, že stiahnutie žiadosti nemá nijaké dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach alebo na programoch na použitie lieku Vijoice v naliehavých prípadoch/programoch riadeného prístupu.

Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní alebo na programe na použitie lieku v naliehavých prípadoch/programoch riadeného prístupu a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.