



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26. jún 2020
EMA/336104/2020
EMA/H/C/004832

Zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Turalio (pexidartinib)

Európska agentúra pre lieky odporučila zamietnuť povolenie na uvedenie na trh pre liek Turalio, čo je liek určený na liečbu tenosynoviálneho gigantocelulárneho nádoru.

Agentúra vydala svoje stanovisko 25. júna 2020. Spoločnosť Daiichi Sankyo Europe GmbH, ktorá požiadala o povolenie, môže požiadať o opätovné preskúmanie stanoviska do 15 dní od prijatia stanoviska.

Čo je liek Turalio a na čo sa mal používať?

Liek Turalio bol vyvinutý ako liek na liečbu dospelých s tenosynoviálnym gigantocelulárnym nádorom, ktorý môže spôsobiť bolesť a výrazne znížiť fyzickú funkciu. Bol určený na použitie v prípade, ak sa iné liečby vrátane chirurgickej liečby už nedali používať alebo neboli vhodné. Tenosynoviálny gigantocelulárny nádor je benígne ochorenie, pri ktorom sa tkanivo obklopujúce vnútorný povrch kĺbu a šľachy, ktoré sa nazýva synoviálna membrána alebo synovium, abnormálne zväčšuje a vytvára v kĺbe a okolo neho výrastky.

Liek Turalio obsahuje liečivo pexidartinib a je k dispozícii vo forme kapsúl na užívanie cez ústa.

Liek Turalio bol 19. marca 2015 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia na liečbu tenosynoviálneho gigantocelulárneho nádoru, lokalizovaného a difúzneho typu. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádza na webovej stránke agentúry:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457.

Akým spôsobom liek Turalio účinkuje?

Liečivo lieku Turalio, pexidartinib, účinkuje tak, že blokuje receptor (cieľ) nazývaný CSF1R, na ktorý sa naviaže proteín CSF-1. Tenosynoviálne gigantocelulárne nádory produkujú veľké množstvá CSF-1, ktorý spôsobuje akumuláciu imunitných buniek nazývaných makrofágy v kĺboch a následne vznik výrastkov. Blokovanie CSF1R znižuje liek aktivitu CSF-1, čím sa malo zabrániť rastu nádoru a zredukovať príznaky ochorenia.



Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky z hlavnej štúdie zahŕňajúcej 120 dospelých pacientov s pokročilým tenosynoviálnym gigantocelulárnym nádorom, ktorý sa nedal liečiť inými spôsobmi. Štúdia bola zameraná na zmenu veľkosti nádoru po 25 týždňoch, počas ktorých bol pacientom podávaný liek Turalio alebo placebo (zdanlivý liek).

Aké boli hlavné dôvody zamietnutia povolenia na uvedenie na trh?

Agentúra mala výhrady, že hoci hlavná štúdia preukázala, že u pacientov liečených liekom Turalio sa nádory zmenšili, nastalo len nepatrné zlepšenie príznakov, ako je bolesť a schopnosť pohybovať kĺbmi. Nebolo jasné, ako dlho budú tieto účinky trvať. Existovali tiež vážne obavy týkajúce sa nepredvídateľných, potenciálne život ohrozujúcich účinkov lieku Turalio na pečeň.

Stanovisko agentúry preto bolo, že prínosy lieku Turalio neprevyšujú jeho riziká, a odporučila zamietnuť povolenie na uvedenie lieku na trh.

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

Spoločnosť informovala agentúru, že zamietnutie nemá žiadne dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach lieku Turalio alebo na programoch na jeho použitie v naliehavých prípadoch.

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