



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25. máj 2023
EMA/271436/2023
EMA/H/C/004867

Zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Sohonos (palovaroten)

Opätovným preskúmaním sa potvrdilo zamietnutie

Európska agentúra pre lieky opätovne preskúmala svoje pôvodné stanovisko a potvrdila svoje odporúčanie, aby sa zamietlo povolenie na uvedenie na trh pre liek Sohonos, čo je liek určený na liečbu ochorenia fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP). FOP je zriedkavé genetické ochorenie, ktoré spôsobuje vytváranie ďalších kostí na miestach mimo kostry (proces nazývaný heterotopická osifikácia), napríklad v kĺboch, svaloch, šľachách a väzoch, čo vedie k postupnému znižovaniu pohyblivosti a iným závažným poruchám.

Agentúra vydala svoje stanovisko po opätovnom preskúmaní 25. mája 2023. Agentúra vydala svoje pôvodné stanovisko 26. januára 2023. Spoločnosť Ipsen Pharma, ktorá požiadala o povolenie lieku Sohonos, požiadala o opätovné preskúmanie pôvodného stanoviska agentúry.

Čo je liek Sohonos a na čo sa mal používať?

Liek Sohonos bol určený na zníženie abnormálnej tvorby kostí v kĺboch, svaloch, šľachách a väzoch u dospelých a detí (dievčat starších ako 8 rokov a chlapcov starších ako 10 rokov) s FOP. Liek obsahuje liečivo palovaroten a mal byť dostupný vo forme kapsúl, ktoré sa užívajú ústami každý deň.

Liek Sohonos bol 19. novembra 2014 označený za liek na ojedinelé ochorenia (liek používaný pri zriedkavých chorobách) na liečbu FOP. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na ojedinelé ochorenia sa nachádza na webovom sídle agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-14-1368.

Akým spôsobom liek Sohonos účinkuje?

Liečivo lieku Sohonos, palovaroten, patrí do skupiny liekov známych ako retinoidy. Viaže sa na receptor kyseliny retinovej (gamma), ktorý sa nachádza v bunkách, ktoré sa podieľajú na tvorbe kostí. Naviazaním sa na tieto receptory liek aktivuje procesy, ktoré znižujú tvorbu kostí. Očakávalo sa, že sa tým zmiernia príznaky ochorenia.

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.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky z jednej hlavnej štúdie, na ktorej sa zúčastnilo 107 dospelých a detí s FOP. Všetci účastníci štúdie boli liečení liekom Sohonos a výsledky štúdie sa porovnávali s výsledkami druhej štúdie, na ktorej sa zúčastnilo 114 pacientov s FOP, ktorí nedostali žiadnu liečbu.

Hlavným meradlom účinnosti v hlavnej štúdii bola zmena v množstve novovytvorenej heterotopickej osifikácie u pacientov.

Aké boli hlavné dôvody zamietnutia povolenia na uvedenie na trh?

V čase pôvodného hodnotenia agentúra usúdila, že nie je možné vyvodiť žiadne jednoznačné závery o prínose lieku, keďže záver žiadateľa bol založený na analýze post-hoc, ktorá nebola vedecky ani klinicky odôvodnená a neboli splnené vopred stanovené ciele štúdie. Okrem toho výsledky z iných štúdií ani obmedzené dlhodobé klinické údaje, ktoré sú k dispozícii, účinnosť nepodporovali. Pokiaľ ide o bezpečnosť, riziko predčasného uzavretia rastových štrbín (narušenie rastových chrupaviek na konci dlhých kostí, čo bráni kostiam v normálnom raste), čo je známe riziko pri liečbe retinoidmi u rastúcich pacientov, nebolo možné primerane zmierniť opatreniami na minimalizovanie rizika, ktoré spoločnosť navrhla. Agentúra okrem toho usúdila, že niektoré otázky týkajúce sa kvality liečiva neboli vyriešené.

Tieto výhrady sa po opätovnom preskúmaní poskytnutých údajov nezmenili a agentúra preto naďalej zastávala názor, že kvalita, bezpečnosť a účinnosť lieku Sohonos neboli dostatočne preukázané.

Agentúra preto usúdila, že prínosy lieku Sohonos neprevyšujú jeho riziká, a odporučila zamietnuť povolenie na uvedenie 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 Sohonos alebo na programoch na jeho použitie v naliehavých prípadoch.

Ak sa zúčastňujete 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.