



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Vioice (alpelizib)

Podjetje Novartis je 30. oktobra 2023 umaknilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Vioice za zdravljenje spektra pretirane rasti (PROS), povezanega z genom *PIK3CA*, tj. genetske bolezni, ki povzroča najrazličnejše simptome, vključno z deformacijami in nenormalno rastjo ali tumorji, ki prizadenejo več tkiv, kot so koža, kosti, krvne žile in možgani.

### Kaj je zdravilo Vioice in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Vioice je bilo razvito kot zdravilo za zdravljenje odraslih in otrok, starejših od dveh let, s hudimi ali smrtno nevarnimi simptomi bolezni PROS, ki zahtevajo sistemsko zdravljenje (zdravljenje, ki vpliva na celotno telo).

Zdravilo Vioice vsebuje učinkovino alpelizib in naj bi bilo na voljo v obliki tablet za peroralno uporabo.

Zdravilo Vioice je bilo 26. marca 2021 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje bolezni PROS. Več informacij o določitvi zdravilnih sirotah je voljo na [spletišču agencije](#):

### Kako zdravilo Vioice deluje?

Pri bolnikih z boleznijo PROS mutacije (spremembe) v genu, imenovanem *PIK3CA*, povzročijo aktivacijo encima (PI3-kinaze), ki sodeluje pri rasti celic. Posledica tega so nenormalna rast tkiv (tumorjev) in deformacije.

Učinkovina v zdravilu Vioice, alpelizib, zavira delovanje encima in naj bi zmanjšala simptome bolezni PROS.

### Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predstavilo podatke iz študije, v katero je bilo vključenih 18 odraslih ter 39 otrok in mladostnikov z boleznijo PROS, ki so zdravilo Vioice prejemale kot del programa sočutne uporabe. Bolniki so imeli hude ali smrtno nevarne simptome te bolezni, ki so zahtevali sistemsko zdravljenje.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Glavno merilo učinkovitosti je bilo število bolnikov, pri katerih se je po 24 tednih zdravljenja celotna velikost ene do treh nenormalnih izrastkov ali tumorjev zmanjšala za vsaj 20 %.

## **Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?**

Vlogo so umaknili po tem, ko je Evropska agencija za zdravila že ocenila začetno dokumentacijo, ki jo je predložilo podjetje, in oblikovala seznam vprašanj. Podjetje ob umiku vloge še ni odgovorilo na zadnji sklop vprašanj.

## **Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?**

Agencija je na podlagi pregleda podatkov in odgovorov podjetja na vprašanja, ki jih je zastavila, ob umiku vloge izrazila določene zadržke in začasno menila, da zdravila Vijoice ni mogoče odobriti za zdravljenje bolezni PROS.

Menila je, da podatki iz študije niso zadostni, da bi natančno pokazali, kakšen učinek ima zdravilo na velikost tumorjev in ali so bolniki dejansko imeli korist od zmanjšanja velikosti tumorja. Čeprav se pri tem obolenju pojavljajo različne vrste sindromov, so učinek zdravila Vijoice opazili le pri enem od njih. Dolgoročna varnost zdravila, zlasti njegov vpliv na rast in razvoj pri otrocih, ni znana.

Zato je agencija ob umiku vloge menila, da podjetje ni predložilo zadostnih podatkov v podporo vlogi.

## **Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?**

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestilo o umiku vloge, navedlo, da potrebuje več časa za pridobitev dodatnih podatkov v podporo oceni zdravila Vijoice.

## **Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe zdravila?**

Podjetje je agencijo obvestilo, da umik nima nobenih posledic za bolnike, ki so vključeni v klinična preskušanja ali programe sočutne uporabe in nadzorovanega dostopa za uporabo zdravila Vijoice.

Če sodelujete v kliničnem preskušanju ali sočutni uporabi/upravljanem programu dostopa in potrebujete več informacij o zdravljenju, se posvetujte z zdravnikom kliničnega preskušanja.