



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25. maj 2023
EMA/271437/2023
EMA/H/C/004867

Zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Sohonos (palovaroten)

Zavrnitev po ponovni presoji potrjena

Po ponovni proučitvi prvotnega mnenja je Evropska agencija za zdravila potrdila svoje priporočilo za zavrnitev dovoljenja za promet z zdravilom Sohonos, ki je namenjeno zdravljenju progresivne osificirajoče fibrodisplazije (FOP). FOP je redka genetska bolezen, ki povzroči nastanek dodatnih kosti na mestih zunaj okostja (proces, imenovan heterotopska osifikacija), na primer v sklepih, mišicah, kitah in vezeh, kar vodi do postopnega zmanjševanja mobilnosti in drugih hudih okvar.

Agencija je mnenje po ponovnem pregledu izdala 25. maja 2023. Prvotno mnenje je izdala 26. januarja 2023. Ponoven pregled prvotnega mnenja agencije EMA je zahtevalo podjetje Ipsen Pharma, ki je predložilo vlogo za dovoljenje za promet z zdravilom Sohonos.

Kaj je zdravilo Sohonos in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Sohonos naj bi zmanjšalo nenormalno tvorbo kosti v sklepih, mišicah, kitah in vezeh pri odraslih in otrocih (deklicah, starejših od 8 let in dečkih, starejših od 10 let) s progresivno osificirajočo fibrodisplazijo. Vsebuje učinkovino palovaroten in naj bi bilo na voljo v obliki kapsul za peroralno jemanje vsak dan.

Zdravilo Sohonos je bilo 19. novembra 2014 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje FOP. Več informacij o določitvi zdravila sirote je voljo na spletišču agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-14-1368.

Kako zdravilo Sohonos deluje?

Učinkovina v zdravilu Sohonos, palovaroten, spada v skupino zdravil, znanih kot retinoidi. Veže se na receptor retinojske kisline (gama), ki je prisoten v celicah, ki sodelujejo pri tvorbi kosti. Z vezavo na te receptorje zdravilo aktivira procese, ki zmanjšujejo tvorbo kosti. To naj bi ublažilo simptome bolezni.

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.

Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predložilo rezultate ene glavne študije, v katero je bilo vključenih 107 odraslih in otrok s FOP. Vsi udeleženci študije so prejeli zdravilo Sohonos, rezultate študije pa so primerjali z rezultati druge študije, v katero je bilo vključenih 114 bolnikov s FOP, ki niso prejeli nobenega zdravljenja.

Glavno merilo učinkovitosti v glavni študiji je bila sprememba količine novo razvitih heterotopskih osifikacij pri bolnikih.

Kateri so bili glavni razlogi za zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom?

V času prvotnega vrednotenja je agencija menila, da ni mogoče oblikovati trdnih zaključkov o koristih zdravila, saj je predlagatelj zaključek temeljil na naknadni analizi, ki ni bila niti znanstveno niti klinično utemeljena, predhodno določeni cilji študije pa niso bili doseženi. Poleg tega rezultati drugih študij in omejeni dolgoročni klinični podatki, ki so na voljo, niso podpirali učinkovitosti. Kar zadeva varnost, z ukrepi za zmanjšanje tveganja, ki jih je predlagalo podjetje, ni bilo mogoče ustrezno ublažiti tveganja za prezgodnjo okostenitev ravnega hrustanca (motnja v območju rasti nove kostnine na koncu dolgih kosti, zaradi česar te kosti ne rastejo normalno), kar je znano tveganje pri zdravljenju z retinoidi pri bolnikih, ki še rastejo. Poleg tega je agencija menila, da nekatera vprašanja v zvezi s kakovostjo učinkovine niso bila rešena.

Ti pomisleki se po ponovnem pregledu predloženih podatkov niso spremenili, zato je agencija potrdila mnenje, da kakovost, varnost in učinkovitost zdravila Sohonos niso bile zadostno dokazane. Zato je zaključila, da koristi zdravila Sohonos ne odtehtajo z njim povezanih tveganj, in priporočila zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom.

Ali ta zavrnitev vpliva na bolnike v kliničnih preskušanjih ali programih sočutne uporabe?

Podjetje je agencijo obvestilo, da zavrnitev nima posledic za bolnike, ki so vključeni v klinična preskušanja ali programe sočutne uporabe zdravila Sohonos.

Če ste vključeni v klinično preskušanje ali program sočutne uporabe in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika.