



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Turalio (peksidartinib)

Evropska agencija za zdravila je priporočila zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Turalio, namenjenim zdravljenju tenosinovijskega gigantomcelularnega tumorja.

Agencija je mnenje izdala 25. junija 2020. Podjetje, ki je predložilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom, Daiichi Sankyo Europe GmbH, lahko v 15 dneh od prejema mnenja zahteva ponovni pregled mnenja.

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

Zdravilo Turalio je bilo razvito kot zdravilo za zdravljenje odraslih s tenosinovijskim gigantomcelularnim tumorjem, ki lahko povzroča bolečine in bistveno zmanjša telesno zmogljivost. Uporabljalo naj bi se, kadar drugih načinov zdravljenja, vključno s kirurškim posegom, ni več mogoče uporabiti ali so neprimerni. Tenosinovijski gigantomcelularni tumor je nerakavo stanje, pri katerem se tkivo, ki obdaja notranje površine sklepov in kit, imenovano sinovijska membrana, nenormalno širi in tvori tvorbe v sklepu in okoli njega.

Zdravilo Turalio vsebuje učinkovino peksidartinib in naj bi bilo na voljo v obliki kapsul, ki se jemljejo peroralno.

Zdravilo Turalio je bilo 19. marca 2015 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje lokaliziranega in difuznega tenosinovijskega gigantomcelularnega tumorja. Več informacij o določitvi zdravila sirote je voljo na spletišču agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457.

Kako zdravilo Turalio deluje?

Učinkovina v zdravilu Turalio, peksidartinib, deluje tako, da zavira receptor (prijemališče), imenovan CSF1R, na katerega se veže beljakovina CSF-1. Beljakovina CSF-1 v večjih količinah proizvajajo tenosinovijski gigantomcelularni tumorji, povzroča pa kopičenje imunskih celic, imenovanih makrofagi, v sklepih ter nastanek izrastkov. Zdravilo z zaviranjem beljakovine CSF1R zmanjša delovanje te beljakovine, kar naj bi preprečilo rast tumorja in pripomoglo k zmanjšanju simptomov bolezni.



Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predstavilo rezultate glavne študije, v katero je bilo vključenih 120 odraslih z napredovalim tenosinovijskim gigantocelularnim tumorjem, ki ga niso mogli zdraviti drugače. Ugotavljali so spremembe velikosti tumorja, potem ko so bolniki 25 tednov prejeli zdravilo Turalio ali placebo (zdravilo brez učinkovine).

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

Agencija je izrazila zadržke, da so se kljub temu, da so v glavni študiji ugotovili, da so se tumorji pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Turalio, zmanjšali, simptomi, kot sta bolečina in zmožnost uporabe sklepa, izboljšali le malo. Ni bilo jasno, kako dolgo ta učinek traja. Bili so tudi resni zadržki o nepredvidljivih, morebitno življenjsko nevarnih učinkih zdravila Turalio na jetra.

Zato je agencija menila, da koristi zdravila Turalio 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 obvestilo agencijo, da zavrnitev nima posledic za bolnike, ki so vključeni v klinična preskušanja ali programe sočutne uporabe zdravila Turalio.

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