



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Vioice (alpelisib)

Den 30 oktober 2023 återkallade Novartis sin ansökan om godkännande för försäljning för Vioice som var avsett för behandling av PROS (PIK3CA-Related Overgrowth Spectrum), ett genetiskt tillstånd som orsakar en rad symtom, såsom missbildningar och onormal tillväxt eller tumörer i flera vävnader, såsom hud, ben, blodkärl och hjärna.

Vad är Vioice och vad skulle det användas för?

Vioice togs fram som ett läkemedel för behandling av vuxna och barn från 2 års ålder med allvarliga eller livshotande symtom på PROS som kräver systemisk behandling (behandling som påverkar hela kroppen).

Vioice innehåller den aktiva substansen alpelisib och skulle finnas som tabletter som skulle tas genom munnen.

Vioice klassificerades den 26 mars 2021 som ett sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid behandling av PROS. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på [EMA:s webbplats](#).

Hur verkar Vioice?

Hos patienter med PROS leder mutationer (förändringar) i en gen som kallas *PIK3CA* till aktivering av ett enzym (PI3-kinas) som är involverat i cellernas tillväxt. Detta leder till onormal tillväxt av vävnader (tumörer) och missbildningar.

Den aktiva substansen i Vioice, alpelisib, blockerar enzymets verkan och förväntades minska symtomen på PROS.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lämnade in data från en studie som omfattade 18 vuxna och 39 barn och ungdomar med PROS som fick Vioice som en del av ett s.k. compassionate use-program. Patienterna hade svåra eller livshotande symtom på PROS som krävde systemisk behandling. Huvudeffekt måttet var antalet

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



patienter som efter 24 veckors behandling hade en minskning på minst 20 procent av den totala storleken hos en till tre onormala tillväxter eller tumörer.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att Europeiska läkemedelsmyndigheten hade utvärderat informationen från företaget och förberett frågor. Vid tidpunkten för återkallandet hade företaget ännu inte besvarat den sista omgången frågor.

Vad rekommenderade myndigheten vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna och företagets svar på myndighetens inledande frågor hyste myndigheten vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Vijojeice inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av PROS.

Myndigheten ansåg att uppgifterna från studien inte var tillräckliga för att visa exakt vilken effekt läkemedlet hade på tumörernas storlek och om patienterna faktiskt drog nytta av någon minskning av tumörstorleken. Trots att PROS omfattar olika typer av syndrom sågs dessutom en effekt av Vijojeice endast för ett av dessa syndrom. Slutligen är läkemedlets långsiktiga säkerhet okänd, särskilt dess effekter på barns tillväxt och utveckling.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför myndigheten att företaget inte hade lämnat in tillräckliga uppgifter som stöd för sin ansökan.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I [skrivelsen](#) till myndigheten om att ansökan återkallas uppgav företaget att det behövde mer tid för att ta fram ytterligare data till stöd för utvärderingen av Vijojeice.

Vilka följder får återkallandet för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade myndigheten om att återkallandet inte får några följder för patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-/managed access-program med Vijojeice.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-/managed access-program och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.