



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 maj 2023
EMA/271438/2023
EMA/H/C/004867

Avslag på ansökan om godkännande för försäljning av Sohonos (palovaroten)

Förnyad prövning bekräftar avslaget

Efter förnyad prövning av sitt ursprungliga yttrande har Europeiska läkemedelsmyndigheten bekräftat sin rekommendation att avslå ansökan om godkännande för försäljning av Sohonos, ett läkemedel avsett för behandling av fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP). FOP är en sällsynt ärftlig sjukdom som kännetecknas av benbildning utanför skelettet (så kallad heterotopisk benbildning), t.ex. i leder, muskler, senor och ligament, vilket leder till gradvis minskad rörlighet och andra allvarliga funktionsnedsättningar.

Myndigheten utfärdade sitt yttrande den 25 maj 2023 efter förnyad prövning. Myndigheten utfärdade sitt ursprungliga yttrande den 26 januari 2023. Företaget som ansökte om godkännandet för Sohonos, Ipsen Pharma, hade begärt en förnyad prövning av EMA:s ursprungliga yttrande.

Vad är Sohonos och vad skulle det användas för?

Sohonos skulle användas för att minska den onormala benbildningen i leder, muskler, senor och ligament hos vuxna och barn (flickor över 8 år och pojkar över 10 år) med FOP. Det innehåller den aktiva substansen palovaroten och skulle finnas tillgängligt som kapslar att tas genom munnen varje dag.

Den 19 november 2014 klassificerades Sohonos som ett särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) för behandling av FOP. Mer information om klassificeringen som särlekemedel finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3-14-1368.

Hur verkar Sohonos?

Den aktiva substansen i Sohonos, palovaroten, tillhör en läkemedelsklass som kallas retinoider. Den binder till retinoinsyreceptorn (gamma), som finns i de celler som medverkar i benbildningsprocessen. Genom att binda till dessa receptorer aktiverar läkemedlet processer som leder till minskad benbildning. Detta förväntades lindra symtomen på sjukdomen.

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



Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget tillhandahöll resultat från en huvudstudie som omfattade 107 vuxna och barn med FOP. Samtliga studiedeltagare fick Sohonos och studieresultaten jämfördes med resultaten från en annan studie som omfattade 114 FOP-patienter som inte fick någon behandling.

Huvudeffektmaatet i huvudstudien var förändringen av mängden heterotopisk bennybildning hos patienterna.

Vilka var de främsta skälen till att avslå ansökan om godkännande för försäljning?

Vid tiden för den ursprungliga utvärderingen fann myndigheten att det inte kunde dras några säkra slutsatser om fördelarna med läkemedlet, eftersom sökandens slutsats byggde på en post hoc-analys som varken var vetenskapligt eller kliniskt motiverad och de på förhand fastställda studiemålen inte uppfylldes. Dessutom stöddes effekten varken av resultaten från andra studier eller av de begränsade långsiktiga kliniska data som fanns tillgängliga. Vad gäller säkerheten kunde risken för störningar i områden för ny bentillväxt i slutet av långa ben, som hindrar dem från att växa normalt (Premature Physeal Closure, PPC), vilket är en känd risk vid retinoidbehandling hos patienter som fortfarande växer, inte minskas i tillräcklig grad genom de riskminimeringsåtgärder som företaget föreslog. Dessutom ansåg myndigheten att vissa frågor rörande den aktiva substansens kvalitet inte hade klargjorts.

Dessa betänkligheter kvarstod efter förnyad prövning av de inlämnade uppgifterna och myndigheten stod fast vid sin ursprungliga slutsats om att Sohonos kvalitet, säkerhet och effekt inte hade styrkts i tillräcklig grad. Myndigheten ansåg därför att nyttan med Sohonos inte var större än riskerna och rekommenderade avslag på ansökan om godkännande för försäljning.

Påverkar detta avslag patienter som deltar i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program?

Företaget informerade myndigheten om att beslutet inte får några följder för patienter i kliniska prövningar eller s.k. compassionate use-program med Sohonos.

Om du deltar i en klinisk prövning eller ett s.k. compassionate use-program och behöver mer information om din behandling kan du kontakta din läkare.