



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 juni 2020
EMA/336104/2020
EMA/H/C/004832

Avslag på ansökan om godkännande för försäljning av Turalio (pexidartinib)

Europeiska läkemedelsmyndigheten har rekommenderat att godkännandet för försäljning avslås för Turalio, ett läkemedel avsett för behandling av tenosynovial jättecellstumör.

Myndigheten utfärdade sitt yttrande den 25 juni 2020. Företaget som ansökte om godkännandet, Daiichi Sankyo Europe GmbH, kan begära en förnyad prövning av yttrandet inom 15 dagar efter att ha mottagit yttrandet.

Vad är Turalio och vad skulle det användas för?

Turalio utvecklades som ett läkemedel för behandling av vuxna med tenosynovial jättecellstumör, som kan orsaka smärta och påtaglig nedsättning av den fysiska funktionen. Det skulle användas när andra behandlingar, inbegripet kirurgiska ingrepp, inte längre kunde användas eller var olämpliga. Tenosynovial jättecellstumör är en icke-cancerös sjukdom där vävnaden runt inre ledytter och senor, det så kallade synoviet, växer onormalt och bildar utväxter i och runt leden.

Turalio innehåller den aktiva substansen pexidartinib och skulle finnas som kapslar att ta genom munnen.

Turalio klassificerades den 19 mars 2015 som ett sällsynt läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) avsett att användas vid behandling av tenosynovial jättecellstumör av lokaliserad och diffus typ. Mer information om klassificeringen som sällsynt läkemedel finns på EMA:s webbplats ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457.

Hur verkar Turalio?

Den aktiva substansen i Turalio, pexidartinib, verkar genom att blockera en receptor (mål) som kallas CSF1R till vilken proteinet CSF-1 binder. CSF-1 produceras i stora mängder av tenosynoviala jättecellstumörer, vilket leder till att immunceller av typen makrofager ansamlas i lederna och orsakar utväxter. Genom att blockera CSF1R minskar läkemedlet aktiviteten hos CSF-1, vilket förväntades förhindra tumörtillväxt och bidra till att lindra sjukdomssymtomen.



Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget presenterade resultat från en huvudstudie med 120 vuxna med framskriden tenosynovial jättecellstumör som inte kunde behandlas med andra metoder. Studien tittade på förändringen av tumörstorlek efter att patienterna fått antingen Turalio eller placebo (en verkningslös behandling) i 25 veckor.

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

Myndighetens tveksamhet gällde att huvudstudien visserligen visade att tumörerna krympte hos patienter som behandlades med Turalio, men att man endast såg en liten förbättring av symtomen, bland annat smärta och förmågan att använda leden. Det framgick inte tydligt hur länge denna effekt varar. Det förelåg även allvarliga betänkligheter gällande oförutsägbara och potentiellt livshotande effekter av Turalio på levern.

Myndigheten ansåg därför att nyttan med Turalio inte övervägde 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 Turalio.

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.