



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Turalio (pexidartinib)

Det Europæiske Lægemiddelagentur har anbefalet afslag på markedsføringstilladelsen for Turalio, et lægemiddel, der er beregnet til behandling af tenosynovial kæmpecelletumor.

Agenturet fremsatte sin udtalelse den 25. juni 2020. Den virksomhed, der har ansøgt om tilladelse, Daiichi Sankyo Europe GmbH, kan inden 15 dage efter modtagelsen af udtalelsen anmode om, at den bliver revurderet.

### Hvad er Turalio, og hvad forventedes det anvendt til?

Turalio blev udviklet som et lægemiddel til behandling af voksne med tenosynovial kæmpecelletumor, som kan forårsage smerter og markant reducere fysiske funktioner. Det var beregnet til anvendelse, når andre behandlinger, herunder kirurgi, ikke længere kunne anvendes eller var uegnede. Tenosynovial kæmpecelletumor er en godartet tilstand, hvor det væv, der omgiver de indvendige ledflader og sener, kaldet synovialmembranen eller synovium, udvides abnormt og danner væsker i og omkring leddet.

Turalio indeholder det aktive stof pexidartinib og skulle markedsføres som kapsler til indtagelse gennem munden.

Turalio blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 19. marts 2015 til behandling af tenosynovial kæmpecelletumor, lokaliseret og diffus type. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457).

### Hvordan virker Turalio?

Det aktive stof i Turalio, pexidartinib, fungerer ved at blokere en receptor (et mål) kaldet CSF1R, som et protein kaldet CSF-1 binder sig til. CSF-1 produceres i store mængder af tenosynoviale kæmpecelletumorer, og det bevirker, at immunceller kaldet makrofager opbygges i leddene og forårsager udvækster. Ved at blokere CSF1R reducerer lægemidlet CSF-1's aktivitet, hvilket forventedes at blokere tumorvæksten og hjælpe med at reducere sygdomssymptomerne.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?**

Virksomheden fremlagde resultater fra et hovedstudie, der omfattede 120 voksne med fremskreden tenosynocial kæmpecelletumor, som ikke kunne behandles på andre måder. Den så på ændringen i tumorstørrelse, efter at patienterne havde fået enten Turalio eller placebo (en virkningsløs behandling) i 25 uger.

## **Hvad var hovedårsagerne til at give afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse?**

Agenturet var betænkelig ved, at der, selvom hovedstudiet viste, at tumorerne skrumpede ind hos patienter, der blev behandlet med Turalio, kun sås en let forbedring i symptomer som smerter og evnen til at bruge leddet. Det var ikke tydeligt, hvor længe denne effekt ville vare. Der var også stor betænkelighed ved uforudsigelige, potentielt livstruende virkninger af Turalio på leveren.

Agenturet var derfor af den opfattelse, at fordelene ved Turalio ikke opvejede risiciene, og anbefalede afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse.

## **Hvilke konsekvenser har afslaget for patienter, der deltager i kliniske studier eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse?**

Virksomheden har informeret agenturet om, at beslutningen ikke vil få konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske studier med Turalio eller i programmer for anvendelse med særlig udleveringstilladelse.

Hvis du deltager i et klinisk studie eller i et program for anvendelse med særlig udleveringstilladelse og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.