



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

26 czerwca 2020 r.
EMA/336104/2020
EMA/H/C/004832

Odmowa przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu Turalio (peksydartynib)

Europejska Agencja Leków zaleciła odmowę przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu Turalio, leku przeznaczonego do leczenia guza olbrzymiokomórkowego pochewki ścięgniastej.

Agencja wydała opinię 25 czerwca 2020 roku. Firma Daiichi Sankyo Europe GmbH ubiegająca się o przyznanie pozwolenia może wystąpić o ponowne rozpatrzenie tej opinii w ciągu 15 dni od jej otrzymania.

Co to jest produkt Turalio i w jakim celu miał być stosowany?

Turalio opracowano jako lek przeznaczony do leczenia osób dorosłych z guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgniastej, mogącym powodować dolegliwości bólowe i znaczne ograniczenie sprawności fizycznej. Lek miał być stosowany w przypadku, gdy inne rodzaje leczenia — w tym leczenie operacyjne — nie mogły być już stosowane lub były nieodpowiednie. Guz olbrzymiokomórkowy pochewki ścięgniastej to niezłśliwa zmiana, w przebiegu której tkanka otaczająca wewnętrzne powierzchnie stawowe i ścięgna (nazywana maziówką lub błoną maziową) ulega nieprawidłowemu przerostowi w obrębie stawu i wokół niego.

Substancją czynną zawartą w produkcie Turalio peksydartynib. Produkt miał mieć postać kapsułek do stosowania doustnego.

W dniu 19 marca 2015 r. lek Turalio uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu guza olbrzymiokomórkowego pochewki ścięgniastej. Więcej informacji na temat oznaczenia leku jako sierocy można znaleźć na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457.

Jak działa produkt Turalio?

Substancja czynna leku Turalio, peksydartynib, działa poprzez blokowanie receptora (celu) o nazwie CSF1R, do którego przyłącza się białko o nazwie CSF-1. W przebiegu guzów olbrzymiokomórkowych pochewki ścięgniastej powstają znaczne ilości białka CSF-1, powodujące, że w stawach gromadzą się komórki odpornościowe (makrofagi) powodujące zmiany przerostowe. Dzięki zablokowaniu receptora

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



CSF1R lek zmniejsza aktywność białka CSF-1, co miało zapobiec wzrostowi guza i pomóc zmniejszyć objawy choroby.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki badania głównego z udziałem 120 osób dorosłych z zaawansowanym guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna, którego nie można było leczyć w inny sposób. W badaniu sprawdzano zmianę wielkości guza po podawaniu pacjentom produktu Turalio albo placebo (leczenia pozorowanego) przez 25 tygodni.

Jakie były główne powody odmowy przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu?

Agencję zaniepokoił fakt, że choć w badaniu głównym obserwowano kurczenie się guzów u pacjentów leczonych produktem Turalio, to w zakresie objawów — takich jak ból i możliwość używania stawu — występowała jedynie niewielka poprawa. Długotrwałość tego efektu pozostawała nieznana. Pojawiły się też poważne obawy co do nieprzewidywalnego, potencjalnie zagrażającego życiu wpływu produktu Turalio na wątrobę.

W związku z tym Agencja wyraziła opinię, że korzyści ze stosowania produktu Turalio nie przewyższają ryzyka i zaleciła odmowę wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Czy ta odmowa ma wpływ na pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych i programach „leczenia ostatniej szansy”?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych ani programach „leczenia ostatniej szansy” z zastosowaniem leku Turalio.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych lub programie leczenia ostatniej szansy i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym.