



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Refuzul autorizației de punere pe piață pentru Turalio (pexidartinib)

Agenția Europeană pentru Medicamente a recomandat refuzul autorizației de punere pe piață pentru Turalio, un medicament pentru tratarea tumorii tenosinoviale cu celule gigante.

Agenția a emis avizul la 25 iunie 2020. Compania care a solicitat autorizația, Daiichi Sankyo Europe GmbH, poate să solicite o reexaminare a avizului în termen de 15 zile de la primirea acestuia.

### Ce este Turalio și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Turalio a fost dezvoltat ca medicament pentru tratarea adulților cu tumoră tenosinovială cu celule gigante, care poate să provoace dureri și să reducă semnificativ funcția fizică. Medicamentul ar fi trebuit să se utilizeze când alte tratamente, inclusiv intervenția chirurgicală, nu mai puteau fi folosite sau când acestea nu erau indicate. Tumora tenosinovială cu celule gigante este o afecțiune necanceroasă în care țesutul care înconjoară tendoanele și suprafețele interioare ale articulațiilor, numit căptușeală sinovială sau membrană sinovială, se extinde anormal de mult și formează excrescențe în interiorul și în jurul articulației.

Turalio conține substanța activă pexidartinib și urma să fie disponibil sub formă de capsule cu administrare orală.

Turalio a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la 19 martie 2015 pentru tratamentul tumorii tenosinoviale cu celule gigante, de tip localizat și difuz. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3151457).

### Cum acționează Turalio?

Substanța activă din Turalio, pexidartinibul, acționează prin blocarea unui receptor (țintă) numit CSF1R, de care se atașează o proteină numită CSF-1. Tumorile tenosinoviale cu celule gigante produc CSF-1 în cantități mari, ceea ce determină celulele imunitare numite macrofage să se acumuleze în articulații și să formeze excrescențe. Blocând CSF1R, medicamentul reduce activitatea CSF-1, ceea ce ar trebui să prevină creșterea tumorii și să ajute la reducerea simptomelor bolii.

---

**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



## **Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?**

Compania a prezentat rezultatele unui studiu principal la care au participat 120 de adulți cu tumoră tenosinovială cu celule gigante în stadiu avansat, care nu putea fi tratată pe alte căi. În cadrul studiului s-a urmărit modificarea dimensiunii tumorii după ce pacienții au primit fie Turalio, fie placebo (un preparat inactiv) timp de 25 de săptămâni.

## **Care au fost principalele motive pentru refuzul autorizației de punere pe piață?**

Agenția era îngrijorată că, deși în urma studiului principal s-a constatat că tumorile s-au micșorat la pacienții tratați cu Turalio, a existat numai o ușoară îmbunătățire a simptomelor precum durerea și capacitatea de utilizare a articulației. Nu era clar cât timp va dura acest efect. De asemenea, au existat motive serioase de îngrijorare cu privire la efectele imprevizibile ale Turalio asupra ficatului, care ar putea pune viața în pericol.

Prin urmare, agenția a considerat că beneficiile Turalio nu depășesc riscurile asociate și a recomandat refuzul autorizației de punere pe piață.

## **Refuzul acestei cereri afectează pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?**

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții implicați în studii clinice sau în programe de uz compasional cu Turalio.

Dacă participați la un studiu clinic sau la un program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului.