

Saksnummer: 067-24 Vedlegg 1

Notat til Bestillerforum for nye metoder

Til:	<i>Bestillerforum for nye metoder</i>
Fra:	<i>Direktoratet for medisinske produkter</i>
Dato:	<i>12.03.2024</i>

Hva saken omhandler i korte trekk

Oppdrag ID2022_027, en forenklet metodevurdering med en vurdering av effekt og sikkerhet (løp D) gjennomføres ved Statens legemiddelverk (nå DMP) for palovarotene til behandling av fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP).

Oppdragsdato: 14.02.2022

Søknaden om markedsføringstillatelse (MT) er avslått. EMA vurderte at fordelene ved behandling med Sohonos ikke var tilstrekkelig for å oppveie for risikoene.

Bakgrunn for saken

EMA vurderte at ingen klare konklusjoner kunne trekkes om fordelene med behandlingen ettersom firmas konklusjon var basert på en post-hoc-analyse som verken var vitenskapelig eller klinisk begrunnet, og forhåndsbestemte studiemål ble ikke oppfylt. I tillegg støttet ikke resultater fra andre studier effektiviteten av behandlingen.

Når det gjelder sikkerhet, kunne ikke risikoen for tidlig epifyselukking (PPC), som er en kjent risiko ved retinoid-behandling hos voksende pasienter, tilstrekkelig reduseres med de risikominimerende tiltakene foreslått av firma. I tillegg vurderte EMA at enkelte spørsmål angående kvaliteten på det aktive stoffet ikke var løst.

EMA bekreftet sin anbefaling om å nekte MT-en for Sohonos 25.05.2023 etter å ha re-eksaminert sin første uttalelse ([Refusal of the marketing authorisation for Sohonos \(palovarotene\)](#)).

Informasjon om aktuelt legemiddel:

Handelsnavn	Sohonos
Virkestoff	Palovarotene
ATC-kode	M09AX11
Legemiddelfirma	Ipsen Pharma
Godkjent indikasjon (MT)	Ikke aktuelt
MT-dato	Avslått 17.07.2023
MT- dato aktuell indikasjon	Ikke aktuelt
Aktuell Indikasjon	Behandling av fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP)
Øvrige indikasjoner og status i Nye Metoder	Ikke aktuelt
Administrasjonsform	Peroral, kapsel, hard
Dosering	Ikke aktuelt
Markedsføringsstatus	Ikke markedsført på det norske markedet
Lenke til godkjent preparatomtale	Ikke aktuelt
Lenke til EPAR	Sohonos : EPAR - Refusal public assessment report

Anbefaling til Bestillerforum

I lys av opplysningene gitt over, anbefaler DMP at saken tas videre til beslutning.

Legemiddelfirma har fått dette notatet til informasjon.

Direktoratet for medisinske produkter, 12.03.2024

Elisabeth Bryn

Enhetsleder