



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31. ledna 2020
EMA/47029/2020
EMA/H/C/004324

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Idhifa (enasidenibum)

Společnost Celgene Europe B.V. stáhla svou žádost o registraci přípravku Idhifa určeného k léčbě dospělých s akutní myeloidní leukémií, nádorovým onemocněním bílých krvinek.

Společnost svou žádost stáhla dne 6. prosince 2019.

Co je přípravek Idhifa a k čemu měl být používán?

Přípravek Idhifa byl vyvinut jako protinádorový přípravek k léčbě akutní myeloidní leukémie u dospělých pacientů, jejichž nádorové buňky vykazují mutaci (změnu) v genu pro bílkovinu zvanou IDH2 a kteří nemohou být léčeni intenzivní protinádorovou léčbou. Přípravek Idhifa měl být používán u dospělých pacientů, jejichž onemocnění nereagovalo na léčbu (refrakterní onemocnění), nebo se vrátilo (relabující onemocnění) po předchozích léčbách zahrnujících transplantaci hematopoetických kmenových buněk (transplantaci buněk, které se mohou vyvinout v jiné typy krevních buněk).

Přípravek Idhifa obsahuje léčivou látku enasidenib a měl být dostupný ve formě tablet.

Přípravek Idhifa byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ k léčbě akutní myeloidní leukémie dne 28. dubna 2016. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Jak přípravek Idhifa působí?

Léčivá látka v přípravku Idhifa, enasidenib, působí tak, že blokuje činnost mutovaných forem IDH2, bílkoviny, která hraje důležitou roli při vytváření energie pro buňky. Mutovaná IDH2 produkuje vysoké hladiny látky zvané D-2-HG, která přispívá k růstu nádorových buněk. Při blokování účinku mutované IDH2 se očekává, že enasidenib sníží produkci D-2-HG, a zpomalí tak progresi onemocnění.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Přípravek Idhifa byl zkoumán v hlavní studii zahrnující 214 pacientů s akutní myeloidní leukémií, kteří vykazovali mutaci IDH2. Přípravek Idhifa nebyl srovnáván s žádným jiným léčivým přípravkem a

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



hlavním měřítkem účinnosti byl počet pacientů, u nichž nebyly po léčbě patrné žádné známky onemocnění.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Žádost byla stažena poté, co Evropská agentura pro léčivé přípravky posoudila dokumentaci předloženou společností a vypracovala seznam otázek. Agentura vyhodnotila odpovědi společnosti na poslední sadu otázek, některé body však zůstaly nedořešené.

Jaké bylo doporučení agentury v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů a odpovědí společnosti na otázky agentury měla agentura v době stažení žádosti určité pochybnosti a její prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Idhifa nemůže být schválen k léčbě akutní myeloidní leukémie.

Agentura se domnívala, že výsledky studie neumožňují dospět k závěru, že by byl přípravek Idhifa dostatečně účinný při léčbě relabující nebo refrakterní akutní myeloidní leukémie s mutací IDH2.

Agentura proto v době stažení žádosti zastávala názor, že přínosy přípravku Idhifa nepřevyšují jeho rizika.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že v rámci dané časové lhůty nebude schopna na hlavní námitky agentury plně reagovat.

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Idhifa podáván v rámci léčby z humanitních důvodů (na základě principu tzv. compassionate use)?

Společnost informovala agenturu, že zamítnutí registrace nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou zařazeni do klinických studií nebo do programů, v nichž je přípravek Idhifa podáván v rámci léčby z humanitních důvodů.

Pokud jste zařazení do klinické studie nebo do programu, v němž je přípravek Idhifa podáván v rámci léčby z humanitních důvodů, a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.