



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Idhifa (enasidenib)

Celgene Europe B.V. har tilbagetrukket sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Idhifa til behandling af voksne med akut myeloid leukæmi.

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 6. december 2019.

Hvad er Idhifa, og hvad forventedes det anvendt til?

Idhifa blev udviklet som et kræftlægemiddel til behandling af akut myeloid leukæmi hos voksne patienter, hvis kræftceller har en forandring (mutation) i et gen i proteinet IDH2, og som ikke kan få intensiv kræftbehandling. Idhifa skulle anvendes hos patienter, hvis sygdom ikke reagerede på behandlinger (refraktær), eller som var kommet tilbage (recidiveret) efter tidligere behandlinger, herunder en hæmatopoietisk stamcelletransplantation (transplantation af celler, der kan udvikle sig til forskellige typer blodlegemer).

Idhifa indeholder det aktive stof enasidenib og skulle markedsføres som tabletter.

Idhifa blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 28. april 2016 til behandling af akut myeloid leukæmi. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Hvordan virker Idhifa?

Det aktive stof i Idhifa, enasidenib, virker ved at blokere aktiviteten af muterede former af IDH2 (en type protein), der spiller en vigtig rolle ved dannelsen af energi til cellerne. Muteret IDH2 danner høje niveauer af et stof kaldet D-2-HG, som medvirker til kræftcellers vækst. Ved at blokere aktiviteten af det muterede IDH2-protein forventes enasidenib at reducere dannelsen af D-2-HG og dermed forsinke sygdommens udvikling.

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



Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Idhifa blev undersøgt i et hovedstudie med 214 patienter med akut myeloid leukæmi, der havde en IDH2-mutation. Idhifa blev ikke sammenlignet med andre lægemidler, og det primære mål for virkning var antallet af patienter, der ikke viste tegn på sygdommen efter behandling.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at Det Europæiske Lægemiddelagentur havde vurderet den dokumentation, som virksomheden havde fremlagt, og udarbejdet spørgsmål til virksomheden. Efter CHMP havde vurderet virksomhedens svar på den sidste spørgsmålsrunde, var der fortsat visse uafklarede punkter.

Hvad anbefalede agenturet på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene og virksomhedens svar på agenturets spørgsmål på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde agenturet visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Idhifa ikke kunne være blevet godkendt til behandling af akut myeloid leukæmi.

Agenturet fandt, at resultaterne af studiet ikke gjorde det muligt at konkludere, at Idhifa var tilstrækkeligt effektivt ved behandling af recidiverende eller refraktær akut myeloid leukæmi med en IDH2-mutation.

Derfor var agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at fordelene ved Idhifa ikke opvejede risiciene.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den ikke kunne svare fuldt ud på agenturets alvorlige betænkeligheder.

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

Virksomheden har informeret agenturet om, at der ikke er nogen konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske studier med Idhifa 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.