



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rücknahme des Antrags auf Genehmigung für das Inverkehrbringen für Idhifa (Enasidenib)

Celgene Europe B.V. hat seinen Antrag auf Genehmigung für das Inverkehrbringen von Idhifa zur Behandlung von Erwachsenen mit akuter myeloischer Leukämie (AML), einem Krebs der weißen Blutkörperchen, zurückgenommen.

Das Unternehmen nahm den Antrag am 6. Dezember 2019 zurück.

Was ist Idhifa und wofür sollte es angewendet werden?

Idhifa wurde als Krebsarzneimittel zur Behandlung von AML bei erwachsenen Patienten entwickelt, deren Krebszellen eine Mutation (Veränderung) im Gen für ein als IDH2 bezeichnetes Protein aufweisen und keine intensive Krebsbehandlung erhalten können. Idhifa sollte bei Patienten angewendet werden, deren Erkrankung auf eine Behandlung nicht angesprochen hatte (refraktär war) oder nach vorherigen Behandlungen, einschließlich einer hämatopoetischen Stammzelltransplantation (eine Transplantation von Zellen, die sich zu verschiedenen Arten von Blutzellen entwickeln können), zurückgekehrt ist (rezidiert).

Idhifa enthält den Wirkstoff Enasidenib und sollte als Tabletten erhältlich sein.

Idhifa wurde am 28. April 2016 als „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) gegen AML ausgewiesen. Weitere Informationen zu der Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie hier: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Wie wirkt Idhifa?

Der Wirkstoff in Idhifa, Enasidenib, blockiert die Wirkung von mutierten Formen von IDH2. Hierbei handelt es sich um ein Protein, das eine wichtige Rolle bei der Erzeugung von Energie für die Zellen spielt. Mutiertes IDH2 produziert hohe Konzentrationen eines Stoffes, der als D-2-HG bezeichnet wird und zum Wachstum von Krebszellen beiträgt. Man erwartet, dass Enasidenib durch das Blockieren der Wirkung des mutierten IDH2 die Produktion von D-2-HG senkt und somit das Fortschreiten der Erkrankung verlangsamt.

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



Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Idhifa wurde in einer Hauptstudie unter Beteiligung von 214 Patienten mit AML, die Träger der IDH2-Mutation waren, untersucht. Idhifa wurde nicht mit anderen Arzneimitteln verglichen. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Anzahl an Patienten, die nach der Behandlung keine Zeichen der Erkrankung aufwiesen.

In welchem Stadium der Beurteilung befand sich der Antrag zum Zeitpunkt der Rücknahme?

Der Antrag wurde zurückgenommen, nachdem die Europäische Arzneimittel-Agentur die von dem Unternehmen eingereichten Unterlagen ausgewertet und eine Liste von Fragen formuliert hatte. Nachdem die Agentur die Antworten des Unternehmens auf die letzte Runde der ihm gestellten Fragen geprüft hatte, waren immer noch einige Fragen ungeklärt.

Wie lautete die Empfehlung der Agentur zu diesem Zeitpunkt?

Aufgrund der geprüften Daten und der Antwort des Unternehmens auf die Fragen der Agentur bestanden seitens der Agentur zum Zeitpunkt der Rücknahme gewisse Bedenken. Diese war der vorläufigen Ansicht, dass Idhifa für die Behandlung von AML nicht hätte zugelassen werden können.

Die Agentur war der Auffassung, dass die Ergebnisse der Studie nicht den Schluss zuließen, dass Idhifa bei der Behandlung einer rezidierten oder refraktären AML mit einer IDH2-Mutation hinreichend wirksam ist.

Zum Zeitpunkt der Rücknahme war die Agentur daher der Ansicht, dass der Nutzen von Idhifa gegenüber den Risiken nicht überwiegt.

Aus welchen Gründen hat das Unternehmen den Antrag zurückgenommen?

In dem [Schreiben](#), in dem das Unternehmen die Agentur über die Rücknahme des Antrags informiert, erklärte es, dass es die wesentlichen Bedenken der Agentur nicht vollständig ausräumen könne.

Hat die Rücknahme Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien bzw. „Compassionate-Use“-Programmen teilnehmen?

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die an klinischen Studien oder „Compassionate-Use“-Programmen mit Idhifa teilnehmen.

Sollten Sie an einer klinischen Studie oder einem „Compassionate-Use“-Programm teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren behandelnden Arzt.