



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 Ιανουαρίου 2020
EMA/47029/2020
EMA/H/C/004324

Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Idhifa (ενασιντενίμμη)

Η Celgene Europe B.V. απέσυρε την αίτησή της για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Idhifa για τη θεραπεία ενηλίκων με οξεία μυελογενή λευχαιμία (ΟΜΛ), ένα είδος καρκίνου των λευκοκυττάρων.

Η εταιρεία απέσυρε την αίτηση στις 6 Δεκεμβρίου 2019.

Τι είναι το Idhifa και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;

Το Idhifa αναπτύχθηκε ως φάρμακο κατά του καρκίνου για τη θεραπεία της ΟΜΛ σε ενήλικες ασθενείς των οποίων τα καρκινικά κύτταρα εμφανίζουν μετάλλαξη (μεταβολή) στο γονίδιο που κωδικοποιεί την πρωτεΐνη IDH2 και οι οποίοι δεν μπορούν να λάβουν εντατική αντικαρκινική θεραπεία. Το Idhifa επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί σε ασθενείς των οποίων η νόσος δεν αποκρίθηκε στη θεραπεία (ανθεκτική) ή επανεμφανίστηκε (υποτροπιάζουσα) έπειτα από προηγούμενες θεραπείες, συμπεριλαμβανομένης της μεταμόσχευσης αιμοποιητικών βλαστικών κυττάρων (μεταμόσχευση κυττάρων που μπορούν να αναπτυχθούν σε διαφορετικούς τύπους αιμοσφαιρίων).

Το Idhifa περιέχει τη δραστική ουσία ενασιντενίμμη και επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή δισκίων.

Το Idhifa χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χορηγείται σε σπάνιες ασθένειες) για τη θεραπεία της ΟΜΛ στις 28 Απριλίου 2016. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161640.

Πώς δρα το Idhifa;

Η δραστική ουσία του Idhifa, η ενασιντενίμμη, δρα αναστέλλοντας τη δράση μεταλλαγμένων μορφών της IDH2, μιας πρωτεΐνης που διαδραματίζει σημαντικό ρόλο στην παραγωγή ενέργειας για τα κύτταρα. Η μεταλλαγμένη IDH2 παράγει υψηλά επίπεδα μιας ουσίας που ονομάζεται D-2-HG, η οποία συμβάλλει στην ανάπτυξη καρκινικών κυττάρων. Αναστέλλοντας τη δράση της μεταλλαγμένης IDH2, η ενασιντενίμμη αναμένεται να μειώσει την παραγωγή της D-2-HG και συνεπώς να επιβραδύνει την εξέλιξη της νόσου.

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



Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Το Idhifa διερευνήθηκε στο πλαίσιο μιας κύριας μελέτης στην οποία συμμετείχαν 214 ασθενείς με ΟΜΛ που εμφάνιζαν μετάλλαξη της IDH2. Το Idhifa δεν συγκρίθηκε με κάποιο άλλο φάρμακο και ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητάς του ήταν ο αριθμός των ασθενών που δεν εμφάνισαν σημεία της νόσου μετά από τη θεραπεία.

Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων είχε αξιολογήσει τις πληροφορίες που είχαν υποβληθεί από την εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων για την εταιρεία. Μετά από την ολοκλήρωση της αξιολόγησης των απαντήσεων της εταιρείας στον τελευταίο γύρο των ερωτήσεων, εκκρεμούσαν ακόμη ορισμένα ζητήματα.

Ποια ήταν η σύσταση του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης;

Βάσει της εξέτασης των υποβληθέντων στοιχείων και της απάντησης της εταιρείας στις ερωτήσεις του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός εξέφρασε ορισμένες ανησυχίες και διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το Idhifa δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί για τη θεραπεία της ΟΜΛ.

Ο Οργανισμός έκρινε ότι τα αποτελέσματα της μελέτης δεν του επέτρεπαν να καταλήξει στο συμπέρασμα ότι το Idhifa ήταν επαρκώς αποτελεσματικό για τη θεραπεία της ανθεκτικής ή υποτροπιάζουσας ΟΜΛ με μετάλλαξη της IDH2.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι τα οφέλη του Idhifa δεν υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό.

Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;

Στην [επιστολή](#) της με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση της αίτησης, η εταιρεία δήλωσε ότι δεν μπορούσε να διευθετήσει πλήρως τις σημαντικότερες αντιρρήσεις που εξέφρασε ο Οργανισμός.

Επηρεάζει η απόσυρση της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης;

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές ή προγράμματα παρηγορητικής χρήσης με το Idhifa.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή ή πρόγραμμα παρηγορητικής χρήσης και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον ιατρό σας.