



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13 Νοεμβρίου 2020
EMA/577847/2020
EMA/H/C/005056

Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Tibsono (ιβοσιδενίμνη)

Η Agios Netherlands B.V. απέσυρε την αίτησή της για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Tibsono για τη θεραπεία της οξείας μυελογενούς λευχαιμίας (ΟΜΛ), μιας μορφής καρκίνου που προσβάλλει τα λευκά αιμοσφαίρια.

Η εταιρεία απέσυρε την αίτηση στις 13 Οκτωβρίου 2020.

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

Το Tibsono αναπτύχθηκε ως φάρμακο για τη θεραπεία της ΟΜΛ που έχει υποτροπιάσει ή δεν έχει παρουσιάσει βελτίωση μετά τη χορήγηση προηγούμενης θεραπείας (ανθεκτική) σε ενήλικες των οποίων τα καρκινικά κύτταρα έχουν υποστεί μετάλλαξη (αλλαγή) στο γονίδιο που παράγει το ένζυμο IDH1. Επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί σε:

- ασθενείς που έχουν λάβει δύο προηγούμενες θεραπείες, περιλαμβανομένης τουλάχιστον μίας συνήθους εντατικής θεραπείας με χημειοθεραπεία
- ασθενείς που δεν μπορούν να λάβουν συνήθη εντατική αντικαρκινική θεραπεία και έχουν δοκιμάσει τουλάχιστον μία μη εντατική θεραπεία.

Το Tibsono περιέχει τη δραστική ουσία ιβοσιδενίμνη και επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή δισκίων.

Το Tibsono χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χορηγείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 12 Δεκεμβρίου 2016 για την ΟΜΛ. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό των ορφανών φαρμάκων διατίθενται στον διαδικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161802.

Πώς δρα το Tibsono;

Η δραστική ουσία του Tibsono, η ιβοσιδενίμνη, δρα αναστέλλοντας τη δράση των μεταλλαγμένων μορφών του IDH1. Το μεταλλαγμένο IDH1 παράγει υψηλά επίπεδα μιας ουσίας που ονομάζεται D-2-γλουτανικό υδροξύ (D-2-HG), η οποία συμβάλλει στην ανάπτυξη καρκινικών κυττάρων. Αναστέλλοντας

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



τη δράση του μεταλλαγμένου IDH1, η ιβοσιδενίμμη, αναμένεται να μειώσει την παραγωγή της D-2-HG και να συμβάλλει στον έλεγχο της νόσου.

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

Η εταιρεία παρουσίασε τα αποτελέσματα μιας κύριας μελέτης στην οποία μετείχαν 179 ασθενείς με υποτροπιάζουσα ή ανθεκτική ΟΜΛ που φέρει τη μετάλλαξη IDH1. Στη μελέτη διερευνήθηκε η επίδραση διάφορων δόσεων του Tibsovo. Το Tibsovo 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 τη θεραπεία, με ή χωρίς ομαλοποίηση του αριθμού των αιμοσφαιρίων.

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

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων είχε ήδη αξιολογήσει τις πληροφορίες που υπέβαλε η εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων για αυτήν. Αφότου ο Οργανισμός ολοκλήρωσε την αξιολόγηση των απαντήσεων της εταιρείας στον τελευταίο γύρο 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 Tibsovo δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί για τη θεραπεία της ΟΜΛ.

Ο Οργανισμός απεφάνθη ότι η κύρια μελέτη δεν παρείχε επαρκή αποδεικτικά στοιχεία σχετικά με την αποτελεσματικότητα του φαρμάκου στη θεραπεία της ΟΜΛ με μετάλλαξη IDH1.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι η εταιρεία δεν είχε υποβάλει επαρκή στοιχεία για τη στήριξη της αίτησης χορήγησης άδειας κυκλοφορίας για το Tibsovo.

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 αποφάσισε να αποσύρει την αίτησή της επειδή ο Οργανισμός έκρινε ότι τα διαθέσιμα δεδομένα δεν ήταν επαρκή για να αποφανθεί επί της θετικής σχέσης οφέλους/κινδύνου για την προτεινόμενη ένδειξη.

Ποιες είναι οι επιπτώσεις από την απόσυρση της αίτησης στους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές;

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές με το Tibsovo.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας παρακολουθεί στο πλαίσιο της δοκιμής.