



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. listopadu 2020  
EMA/577847/2020  
EMA/H/C/005056

## Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Tibsovo (ivosidenib)

Společnost Agios Netherlands B.V. stáhla svou žádost o registraci přípravku Tibsovo určeného k léčbě akutní myeloidní leukémie, což je nádorové onemocnění bílých krvinek.

Společnost svou žádost stáhla dne 13. října 2020.

### Co je přípravek Tibsovo a k čemu měl být používán?

Přípravek Tibsovo byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě akutní myeloidní leukémie, která se vrátila (relabovala) nebo se nezlepšila při předchozí léčbě (refrakterní) u dospělých, jejichž nádorové buňky mají mutaci (změnu) v genu pro enzym zvaný IDH1. Přípravek se měl podávat:

- pacientům, kteří podstoupili dvě předchozí léčby, včetně alespoň jedné standardní intenzivní léčby chemoterapií,
- pacientům, kteří nemohou dostávat standardní intenzivní protinádorovou léčbu a podstoupili alespoň jednu neintenzivní léčbu.

Přípravek Tibsovo obsahuje léčivou látku ivosidenib a měl být dostupný ve formě tablet.

Přípravek Tibsovo byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 12. prosince 2016, přičemž měl být určen k léčbě akutní myeloidní leukémie. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese:

[ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161802](http://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3161802).

### Jak přípravek Tibsovo působí?

Léčivá látka v přípravku Tibsovo, ivosidenib, působí tak, že blokuje činnost mutovaných forem enzymu IDH1. Mutovaný enzym IDH1 vytváří vysoké hladiny látky zvané D-2-hydroxyglutarát (D-2-HG), která přispívá k růstu nádorových buněk. Očekává se, že ivosidenib blokováním účinku mutovaného enzymu IDH1 sníží tvorbu D-2-HG, a tím umožní kontrolu onemocnění.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?**

Společnost předložila výsledky z hlavní studie zahrnující 179 pacientů s relabující nebo refrakterní akutní myeloidní leukémií nesoucí mutaci v genu pro IDH1. Ve studii se zkoumaly účinky různých dávek přípravku Tibsovo. Přípravek Tibsovo nebyl srovnáván s žádným jiným léčivým přípravkem a hlavním měřítkem účinnosti byl počet pacientů, u nichž již nebyly po léčbě patrné žádné známky onemocnění, s obnovením normálního počtu krvinek či bez něho.

## **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 Tibsovo nemůže být schválen k léčbě akutní myeloidní leukémie.

Agentura dospěla k závěru, že výsledky hlavní studie neposkytují dostatek důkazů o tom, že je uvedený léčivý přípravek při léčbě akutní myeloidní leukémie s mutací IDH1 účinný.

Agentura proto v době stažení žádosti zastávala názor, že společnost neposkytla dostatek údajů na podporu své žádosti o registraci přípravku Tibsovo.

## **Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?**

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že svou žádost stáhla, protože agentura usoudila, že dostupné údaje nejsou dostačující k učinění závěru o příznivém poměru přínosů a rizik u navrhované indikace.

## **Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií?**

Společnost informovala agenturu, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií s přípravkem Tibsovo.

Pokud jste zařazení do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.