



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Tibsovo (ivosidenib)

Agios Netherlands B.V. har tilbagetrukket sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Tibsovo til behandling af akut myeloid leukæmi, der er en type kræft i de hvide blodlegemer.

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 13. oktober 2020.

Hvad er Tibsovo, og hvad forventedes det anvendt til?

Tibsovo blev udviklet som et lægemiddel til behandling af akut myeloid leukæmi, der er vendt tilbage (recidiveret), eller som ikke er blevet bedre efter en tidligere behandling (refraktær) hos voksne, hvis kræftceller har en forandring (mutation) i genet for enzymet IDH1. Det skulle anvendes hos:

- patienter, som har fået to tidligere behandlinger, herunder mindst én intensiv standardbehandling med kemoterapi
- patienter, som ikke kan få intensiv standardbehandling mod kræft, og som har fået mindst én ikke-intensiv behandling.

Tibsovo indeholder det aktive stof ivosidenib og skulle markedsføres som tabletter.

Tibsovo blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" til akut myeloid leukæmi den 12. december 2016. Yderligere oplysninger om lægemidler til sjældne sygdomme findes på agenturets websted under:

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

Hvordan virker Tibsovo?

Det aktive stof i Tibsovo, ivosidenib, virker ved at blokere aktiviteten af muterede former af IDH1. Muteret IDH1 danner høje niveauer af et stof kaldet D-2-hydroxyglutarat (D-2-HG), som medvirker til kræftcellers vækst. Ved at blokere aktiviteten af det muterede IDH1 forventes ivosidenib at reducere dannelsen af D-2-HG og dermed kontrollere sygdommen.

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?

Virksomheden fremlagde resultater fra et hovedstudie med 179 patienter med recidiveret eller refraktær akut myeloid leukæmi, der har en IDH1-mutation. Studiet så nærmere på virkningen af forskellige doser af Tibsovo. Tibsovo blev ikke sammenlignet med andre lægemidler, og det primære mål for virkningen var antallet af patienter, der ikke længere viste tegn på sygdommen efter behandling, med eller uden normalisering af blodværdierne.

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 at agenturet 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 Tibsovo ikke kunne være blevet godkendt til behandling af akut myeloid leukæmi.

Agenturet konkluderede, at hovedstudiet ikke havde medført tilstrækkelig evidens for, at lægemidlet er effektivt til behandling af akut myeloid leukæmi med en IDH1-mutation.

Derfor var agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at virksomheden ikke havde fremlagt tilstrækkelige oplysninger til at underbygge ansøgningen om Tibsovo.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at den trak ansøgningen tilbage, fordi agenturet vurderede, at de fremlagte data ikke var tilstrækkelige til at konkludere, at benefit/risk-forholdet for lægemidlet var positivt i den ansøgte indikation.

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske studier?

Virksomheden har til agenturet oplyst, at der ikke er nogen konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske studier med Tibsovo.

Hvis du deltager i et klinisk studie og har behov for yderligere oplysninger om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.