



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Tibsovoa (ivosidenibi) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Agios Netherlands B.V. peruutti Tibsovo-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Tibsovo oli tarkoitettu akuutin myeloosin leukemian (AML:n) eli veren valkosolujen syövän hoitoon.

Yhtiö peruutti hakemuksen 13. lokakuuta 2020.

### Mitä Tibsovo on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Tibsovo kehitettiin lääkkeeksi, jota oli tarkoitus käyttää uusiutuneen AML:n hoitoon tai silloin, kun aiempi hoito ei ollut tehonnut siihen. Tibsovolla oli tarkoitus hoitaa aikuisia, joiden syöpäsoluissa on mutaatio (muutos) IDH1-nimisen entsyymin geenissä. Sillä oli määrä hoitaa

- potilaita, jotka ovat saaneet aiemmin vähintään kahta hoitoa (joista vähintään yksi on ollut kemoterapiaa sisältänyt intensiivinen vakiohoito)
- potilaita, joille ei voida antaa syövän intensiivistä vakiohoitoa ja jotka ovat kokeilleet vähintään yhtä muuta kuin intensiivistä hoitoa.

Tibsovon vaikuttava aine on ivosidenibi, ja sitä oli määrä olla saatavana tabletteina.

Tibsovo nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 12. joulukuuta 2016 AML:n hoitoa varten. Lisätietoja harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivuilla:

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

### Miten Tibsovo vaikuttaa?

Tibsovon vaikuttava aine, ivosidenibi, vaikuttaa estämällä mutaation vaikutuksesta muuttuneiden IDH1:n muotojen toiminnan. Mutaation vaikutuksesta muuttunut IDH1 tuottaa suuria määriä D-2-hydroksiglutaraatti (D-2-HG) -nimistä ainetta, joka edistää syöpäsolujen kasvua. Kun ivosidenibi estää mutaation vaikutuksesta muuttuneen IDH1:n toiminnan, sen oletetaan vähentävän D-2-HG:n tuotantoa ja hidastavan näin sairauden etenemistä.

---

**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



## **Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?**

Yhtiö esitti tulokset päätutkimuksesta, johon osallistui 179 potilasta. Näillä potilailla oli joko uusiutunut tai hoitoon vastaamaton AML sekä IDH1-mutaatio. Tutkimuksessa tutkittiin Tibsovon eri annosten vaikutuksia. Tibsovoa ei verrattu muihin lääkkeisiin, ja tehon päämittana oli niiden potilaiden lukumäärä, joilla ei ollut merkkejä sairaudesta hoidon jälkeen ja joiden verisolumäärät joko normalisoituivat tai eivät normalisoituneet.

## **Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?**

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut yhtiön toimittamat tiedot ja laatinut luettelon kysymyksistä. Kun virasto oli arvioinut yhtiön antamat vastaukset viraston viimeisiin kysymyksiin, joitakin seikkoja oli vielä selvittämättä.

## **Mikä oli viraston suositus tuolloin?**

Virasto suhtautui saamiensa tietojen ja yhtiön kysymysluetteloon antamien vastausten tarkastelun perusteella varauksellisesti joihinkin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ja sen alustava kanta oli, että Tibsovoa ei olisi voitu hyväksyä akuutin myeloosin leukemian hoitoon.

Virasto katsoi, ettei päätutkimuksesta saatu riittävästi näyttöä siitä, että lääke on tehokas AML:n hoidossa, kun potilaalla on IDH1-mutaatio.

Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei yhtiö ollut toimittanut riittävästi tietoa Tibsovoa koskevan myyntilupahakemuksen tueksi.

## **Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?**

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että se päätti peruuttaa hakemuksensa, koska virasto katsoi, etteivät saatavilla olevat tiedot olleet riittäviä, jotta olisi voitu todeta lääkkeen hyöty-riskisuhteen olevan suotuisa ehdotetussa käyttöaiheessa.

## **Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilailla?**

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Tibsovoa koskeviin kliinisiin tutkimuksiin.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, ota yhteyttä kliinisen tutkimuksen lääkäriin.