



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Tibsovo (ivosidenib)

Spoločnosť Agios Netherlands B.V. stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie lieku Tibsovo na trh, ktorý je určený na liečbu akútnej myeloidnej leukémie (AML), rakoviny bielych krviniek.

Spoločnosť stiahla svoju žiadosť 13. októbra 2020.

### Čo je liek Tibsovo a na čo sa mal používať?

Liek Tibsovo bol vyvinutý ako liek na liečbu AML, ktorá sa vrátila (relapsovala) alebo sa pri predchádzajúcej liečbe nezlepšila (refraktérna) u dospelých, ktorých rakovinové bunky zmutovali (zmenili sa) v géne enzýmu nazývaného IDH1. Mal sa používať:

- u pacientov, ktorí absolvovali dve predchádzajúce liečby vrátane najmenej jednej štandardnej intenzívnej liečby s chemoterapiou,
- u pacientov, ktorí nemôžu dostávať štandardnú intenzívnu liečbu proti rakovine a ktorí vyskúšali aspoň jednu neintenzívnu liečbu.

Liek Tibsovo obsahuje liečivo ivosidenib a mal byť dostupný vo forme tabliet.

Liek Tibsovo bol dňa 12. decembra 2016 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Mal byť určený na liečbu AML. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia môžete nájsť na webových stránkach agentúry:

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

### Akým spôsobom liek Tibsovo účinkuje?

Liečivo v lieku Tibsovo, ivosidenib, pôsobí tak, že zablokuje účinok mutovaných foriem enzýmu IDH1. Mutovaný enzým IDH1 vytvára vysoké hladiny látky nazývanej D-2-hydroxyglutarát (D-2-HG), ktorá prispieva k rastu rakovinových buniek. Predpokladá sa, že zablokovaním pôsobenia mutovaného enzýmu IDH1 ivosidenib zníži vytváranie D-2-HG, a tak kontroluje ochorenie.

---

**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



## **Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?**

Spoločnosť predložila výsledky z hlavnej štúdie zahŕňajúcej 179 pacientov s relapsujúcou alebo refraktérnou AML nesúcou mutáciu enzýmu IDH1. Štúdia skúmala účinky rôznych dávok lieku Tibsovo. Liek Tibsovo sa neporovnával so žiadnym iným liekom a hlavným meradlom účinnosti bol počet pacientov, u ktorých sa po liečbe nevyskytovali známky ochorenia, a to s normalizáciou počtu krviniek alebo bez nej.

## **V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?**

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila dokumentáciu, ktorú spoločnosť predložila a vypracovala zoznam otázok pre spoločnosť. Potom ako agentúra posúdila odpovede spoločnosti na poslednú sériu otázok, ešte stále zostali niektoré otázky nevyriešené.

## **Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?**

Na základe preskúmania údajov a odpovedí spoločnosti na otázky agentúry mala agentúra v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek Tibsovo nemôže byť povolený na liečbu AML.

Agentúra dospela k záveru, že hlavná štúdia neposkytla dostatok dôkazov o účinnosti lieku pri liečbe AML s mutáciou enzýmu IDH1.

Agentúra v čase stiahnutia zastávala názor, že spoločnosť nepredložila dostatočné údaje na podporu žiadosti pre liek Tibsovo.

## **Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?**

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že žiadosť sa rozhodla stiahnuť preto, lebo sa agentúra domnieva, že dostupné údaje neumožňujú vyvodiť záver o pozitívnom pomere prínosu a rizika lieku pre navrhnutú indikáciu.

## **Má stiahnutie žiadosti vplyv na pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúškaniach?**

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov používajúcich liek Tibsovo, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúškaniach, nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak sa zúčastňujete na klinickom skúšaní a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.