



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Tibsovo (ivosidenib)

Podjetje Agios Netherlands B.V. je umaknilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Tibsovo za zdravljenje akutne mieloične levkemije, tj. raka belih krvnih celic.

Podjetje je vlogo umaknilo 13. oktobra 2020.

Kaj je zdravilo Tibsovo in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Tibsovo je bilo razvito kot zdravilo za zdravljenje akutne mieloične levkemije, ki se je ponovila (recidivna oblika) ali se ni izboljšala s predhodnimi zdravljenji (neodzivna oblika) pri odraslih, pri katerih imajo rakave celice mutacijo (spremembo) v genu za encim, imenovan IDH1. Uporabljalo naj bi se pri:

- bolnikov, ki so prejeli dve predhodni zdravljenji, vključno z vsaj enim standardnim intenzivnim zdravljenjem s kemoterapijo;
- bolnikov, ki ne morejo prejeti standardnega intenzivnega zdravljenja proti raku in so prejeli vsaj eno neintenzivno zdravljenje.

Zdravilo Tibsovo vsebuje učinkovino ivosidenib in naj bi bilo na voljo v obliki tablet.

Zdravilo Tibsovo je bilo 12. decembra 2016 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za zdravljenje akutne mieloične levkemije. Več informacij o določitvi zdravila sirote je voljo na spletišču agencije:

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

Kako zdravilo Tibsovo deluje?

Učinkovina v zdravilu Tibsovo, ivosidenib, zavira delovanje mutiranih oblik encima IDH1. Mutirani encim IDH1 proizvaja visoke ravni snovi, ki se imenuje D-2-hidroksiglutarat (D-2-HG) in prispeva k rasti rakavih celic. Ivosidenib naj bi z zaviranjem delovanja mutiranega encima IDH1 zmanjšal nastajanje snovi D-2-HG in tako obvladal bolezen.

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



Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predložilo rezultate glavne študije, ki je vključevala 179 bolnikov z akutno mieloično levkemijo, pri katerih se je bolezen ponovila ali je bila neodzivna in ki imajo mutacijo encima IDH1. V študiji so proučevali učinke različnih odmerkov zdravila Tibsovo. Zdravila Tibsovo niso primerjali z nobenim drugim zdravilom, glavno merilo učinkovitosti pa je bilo število bolnikov, ki po zdravljenju niso več imeli znakov bolezni, število krvnih celic pa se je normaliziralo ali pa ne.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je Evropska agencija za zdravila že ocenila začetno dokumentacijo, ki jo je predložilo podjetje, in oblikovala seznam vprašanj. Potem ko je agencija ocenila odgovore podjetja na zadnji sklop vprašanj, so nekatera vprašanja še vedno ostala nerešena.

Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?

Agencija je na podlagi pregleda podatkov in odgovorov podjetja na vprašanja, ki jih je zastavila, ob umiku vloge izrazila določene zadržke in začasno menila, da zdravila Tibsovo ni mogoče odobriti za zdravljenje akutne mieloične levkemije.

Agencija je zaključila, da glavna študija ne zagotavlja dovolj dokazov, da je zdravilo učinkovito pri zdravljenju akutne mieloične levkemije z mutacijo encima IDH1.

Zato je v času umika menila, da podjetje ni predložilo zadostnih podatkov v podporo vlogi za zdravilo Tibsovo.

Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestilo o umiku vloge, navedlo, da se je odločilo umakniti vlogo, saj je agencija menila, da predloženi podatki niso zadostni, da bi pozitivno ocenila razmerje med tveganji in koristmi za predlagano indikacijo.

Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih?

Podjetje je agencijo obvestilo, da umik vloge nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih z zdravilom Tibsovo.

Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki sodeluje v kliničnem preskušanju.